
Newsletter Klinische Studien

ZKJ-Studiensekretariat

Veröffentlichung von Studienergebnissen unter Beteiligung des ZKJ

SMArtCARE - A platform to collect real-life outcome data of patients with spinal muscular atrophy.

[Pechmann A, König K, Bernert G, Schachtrup K, Schara U, Schorling D, Schwersenz I, Stein S, Tassoni A, Vogt S, Walter MC, Lochmüller H, Kirschner J. Orphanet J Rare Dis. 2019 Jan 21;14\(1\):18. doi: 10.1186/s13023-019-0998-4.](#)

[Link zum Artikel: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30665421](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30665421)

Rhabdomyosarcoma diagnosed in the first year of life: Localized, metastatic, and relapsed disease. Outcome data from five trials and one registry of the Cooperative Weichteilsarkom Studiengruppe (CWS).

[Sparber-Sauer M, Stegmaier S, Vokuhl C, Seitz G, von Kalle T, Scheer M, Münter M, Bielack SS, Weclawek-Tompol J, Ladenstein R, Niggli F, Ljungman G, Fuchs J, Hettmer S, Koscielniak E, Klingebiel T; CWS Study Group. Pediatr Blood Cancer. 2019 Feb 14:e27652. doi: 10.1002/pbc.27652](#)

[Link zum Artikel: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30762282](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30762282)

Übersicht der nächsten Fortbildungen für Studienmitarbeiter

Grundlagen- und Aufbaukurs (früher Prüferkurs)	02.04.2019 (Grundlagenkurs)
	23.05.2019 (Aufbaukurs)
	11.07.2019 (Aufbaukurs)
	12.07.2019 (Grundlagenkurs)
Studienleiterkurs	12. – 14.03.2019
	02. – 04.07.2019
GCP-Refresher	08.05.2019
	17.07.2019

Grundlagenkurs MPG 22.05.2019

**Aufbauergänzungskurs
MPG** 23.07.2019

MPG-Refresher 08.05.2019

**Non AMG/Non MPG
Studien** 15.05.2019

[Weitere Informationen auch unter: https://www.uniklinik-freiburg.de/zks/fortbildungen.html](https://www.uniklinik-freiburg.de/zks/fortbildungen.html)
[Zu neuen Vorgaben: s. unten.](#)

Neu begonnene Studien am ZKJ

Pädiatrische Hämatologie und Onkologie

AMoRe 2017: Internationale multizentrische offene Phase 2 Studie zur Behandlung des molekularen Rezidivs pädiatrischer akuter myeloischer Leukämie mit Azacitidin, Phase II

Akute myeloische Leukämie mit molekularem Rezidiv nach 1. kompletter Remission, 3 Monate - < 21 Jahre, aktiv seit 11.12.2018

[Link zur Homepage](#)

[Weitere Informationen: www.drks.de: DRKS00015449](http://www.drks.de: DRKS00015449)

CML-paed II Register: Therapie der chronisch myeloischen Leukämie bei Kindern und Jugendlichen, Register

Chronisch myeloische Leukämie, 0 - <18 Jahre, aktiv seit 19.02.2019

[Link zur Homepage](#)

Venetoclax: Phase-I-Studie zur Sicherheit und Pharmakokinetik von Venetoclax bei Kindern und jungen Erwachsenen mit rezidivierenden oder refraktären malignen Erkrankungen, Phase I

Rezidivierende und refraktäre maligne Erkrankungen, 0 - < 25 Jahre, aktiv seit 22.02.2019

[Link zur Homepage](#)

[Weitere Informationen: www.clinicaltrials.gov: NCT03236857](http://www.clinicaltrials.gov: NCT03236857)

[Ausführliche Informationen: s. unten](#)

Ausführlich beleuchtet

Neue Forschungskordinatorin am ZKJ



Ich bin Frau Dr. Anneke Haddad und seit 1 Februar 2019 als Forschungskordinatorin am ZKJ

eingestellt. Meine Forschungserfahrungen habe ich an Universitäten in Großbritannien gesammelt und zwar in Psychologie zu den Themen Angststörungen, Depression, und Kognition, besonders bei Jugendlichen.

Zu meinen Tätigkeiten als Forschungskordinatorin gehören die Koordination von Veranstaltungen und Zusammenarbeit, die Verbesserung der Vernetzung innerhalb und außerhalb der Kinderklinik, und die Unterstützung von Drittmittelanträgen. Die Möglichkeit, zu der Gesundheit von Kindern und Jugendlichen durch die Fortentwicklung von Forschung beizutragen, reizt mich sehr und ich freue mich darauf, die weitgehende Forschung am ZKJ zu fördern!

Allgemeine Kinder- und Jugendmedizin



CARE-FAM-NET – Kinder mit seltenen Erkrankungen, deren Geschwister und Eltern – Children affected by rare disease and their families – network

Eine Erkrankung gilt als selten, wenn nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen von ihr betroffen sind. Schätzungen zufolge leben in Deutschland etwa zwei Millionen Kinder und Jugendliche mit einer seltenen Erkrankung. Betroffene Familien sind häufig körperlich und psychisch hoch belastet, denn die dauernde Pflege und Unterstützung des erkrankten Kindes kann kräftezehrend sein. Studien zufolge werden beispielsweise zwischen 30 und 40 Prozent der Mütter in Folge der erheblichen Belastungen depressiv oder entwickeln eine Angsterkrankung. Auch die Geschwisterkinder weisen ein erhöhtes Risiko für Verhaltensstörungen auf, denn sie wachsen in einem Lebensumfeld auf, das durch die Pflege und medizinische Versorgung des erkrankten Kindes geprägt ist.

Hier setzt das Konsortium CARE-FAM-NET (Children affected by rare disease and their families – network) an, um die bestehende Lücke an psychosozialer Versorgung von Familien mit betroffenen Kindern und Jugendlichen zwischen null und 21 Jahren zu schließen. Dafür arbeiten im Konsortium insgesamt 45 Konsortialpartner aus Kliniken und wissenschaftlichen, evaluierenden Institutionen mit Krankenkassen, Selbsthilfeorganisationen und mit Kooperationspartnern aus Jugendhilfe, Bildungssystem und Bundespolitik eng zusammen. Das gemeinsame Ziel ist eine sektorenübergreifende psychosoziale Versorgung für Kinder mit seltenen Erkrankungen, deren Geschwister und Eltern an bundesweit 18 Standorten in 13 Bundesländern und deren Transfer in die Regelversorgung. Dafür werden die Kinderkliniken mit einer psychosozialen Versorgungseinheit und dem regionalen Zentrum für seltene Erkrankung vernetzt und zwei neue Ansätze erprobt, die sowohl die Diagnostik als auch die Früherkennung und Behandlung psychischer Begleiterkrankungen aller Familienangehörigen leisten sollen.

Mit einer niederfrequenten Familienintervention in etwa sechs bis acht Gesprächen über ein halbes Jahr oder einer Online-Beratung sollen alle betroffenen Kinder und Angehörigen frühestmöglich begleitend zur Behandlung individuelle psychosoziale Hilfen erhalten, die eine positive Krankheitsbewältigung unterstützen und psychischen Störungen begegnen. Eingeschlossen werden 1.000 Familien mit Kindern mit seltenen Erkrankungen. Das Projekt wird für drei Jahre mit insgesamt ca. 7,6 Millionen Euro gefördert.

Im Erfolgsfall wird durch die neuen Versorgungsformen eine bedeutsame Versorgungslücke geschlossen und die psychische Gesundheit und Lebensqualität von Kindern mit einer Seltenen Erkrankung und ihrer Angehörigen nachhaltig verbessert

Die Konsortialführung haben Frau Prof. Dr. Silke Wiegand-Greife und PD Dr. Jonas Denecke (Universitätsklinikum Hamburg Eppendorf (UKE)) inne. Die Konsortialpartner am Universitätsklinikum Freiburg sind Frau Prof. Dr. med. Ute Spiekerkötter (Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin (ZKJ)) und Prof. Dr. med. C. Fleischhaker (Klinik f. Psychiatrie, Psychotherapie u. Psychosomatik im Kindes- u. Jugendalter. Ansprechpartner am ZKJ: Dr. M. Barth.

Dieses Projekt wird mit Mitteln des Innovationsausschusses beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) unter dem Förderkennzeichen 01NVF17028 gefördert.

Weitere Informationen: <http://carefamnet.org/der-verbund/>

Pädiatrische Hämatologie und Onkologie

Venetoclax: Phase-I-Studie zur Sicherheit und Pharmakokinetik von Venetoclax bei Kindern und jungen Erwachsenen mit rezidivierenden oder refraktären malignen Erkrankungen, Phase I

Die Behandlungsergebnisse bei Kindern mit neu diagnostizierten Tumoren haben sich in der Vergangenheit drastisch verbessert und für die meisten Tumorarten des Kindesalters ist das Gesamtüberleben nach der Ersttherapie erfreulich hoch. Für rezidierte Tumoren oder solche, die auf die Erstbehandlung nicht gut ansprechen, ist die Prognose aber weiterhin schlecht. Die Entwicklung neuartiger Therapieprinzipien ist daher weiterhin eine medizinische Notwendigkeit.

Der kontrollierte Zelltod (Apoptose) dient ganz allgemein dem Schutz des menschlichen Organismus bei Beschädigungen oder Überalterung einer Zelle. Hierfür notwendig ist ein fein austariertes Gleichgewicht zwischen Faktoren, die die Apoptose auslösen oder begünstigen und solchen, die sie eindämmen. Als Ausweichstrategie gegen diesen Schutzmechanismus produzieren viele Tumorzellen vermehrt das Molekül Bcl-2, was zu einer Hemmung der Tumorzellapoptose führt. Mit Venetoclax ist ein neuartiges Medikament in der Entwicklung, das die überschießende Funktion von Bcl-2 neutralisieren kann. Bei Erwachsenen wurden bereits gute klinische Erfolge bei der chronischen lymphatischen Leukämie, der akuten myeloischen Leukämie und dem Non-Hodgkin-Lymphom erzielt.

Um die Anwendung des Prinzips auch bei Krebs im Kindesalter weiter zu entwickeln, wurde in der Klinik für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie des Universitätsklinikums Freiburg kürzlich die Studie M13-833 des pharmazeutischen Unternehmens AbbVie initiiert. Es handelt sich um eine prospektive, nicht verblindete multizentrische Phase-I-Studie, die in erster Linie der Sicherheit und Pharmakokinetik von Venetoclax bei Kinder und jungen Erwachsenen nachgeht. Eingeschlossen werden können Patienten mit den Diagnosen akute lymphoplastische Leukämie, akute myeloische Leukämie oder Non-Hodgkin-Lymphom, die einen rezidierten oder primär refraktären Verlauf haben. Die parallele Anwendung einer Chemotherapie ist möglich. Es ist vorgesehen, zu einem späteren Zeitpunkt die Studie auch auf das Feld der soliden Tumoren auszuweiten.

Da die bisherigen Studienergebnissen in Tiermodellen und bei Menschen darauf hindeuten, dass von Venetoclax in Zukunft "noch einiges zu erwarten" ist, kann es umso mehr als Erfolg gewertet werden, dass Freiburg als eines von nur vier Zentren in Deutschland an dieser weltweit durchgeführten Studie beteiligt wird.

Ansprechpartner am ZKJ ist Herr Prof. Dr. Flotho.

[Link zur Homepage](#)

BMBF-Förderung für das Verbundprojekt „MyPred“

Das Projekt „MyPred: Optimizing care for young individuals with syndromes predisposing to myeloid malignancies“ der Klinik für Pädiatrische Hämatologie und Onkologie wurde durch das Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) zur Förderung vorgeschlagen. Dieser Verbundantrag wurde gemeinsam mit den Universitätskliniken Hannover, Tübingen, Düsseldorf und Halle, unter Koordination von Frau Dr. Miriam Erlacher, im Rahmen der BMBF-Ausschreibung für „Translationsorientierte Verbundvorhaben im Bereich der seltenen Erkrankungen“ eingereicht. Aktuell finden die Vertragsabschlüsse zwischen dem BMBF und den beteiligten Universitäten statt.

Im Zentrum von MyPred stehen Syndrome, die mit einem Risiko für das Auftreten einer myeloischen Leukämie oder eines myelodysplastischen Syndroms im Kindes- und Jugendalter verbunden sind. Dazu gehören unter anderem Erkrankungen mit angeborenem Knochenmarkversagen. Abgesehen von einer Veranlagung für myeloische Neoplasien gehen diese Syndrome auch oft mit angeborenen

Fehlbildungen und Organstörungen einher. Der Forschungsverbund wird die Entwicklung von myeloischen Neoplasien in diesen Syndromen erforschen und integriert die in Deutschland registrierten Patienten zweier internationaler Register, des Registers der „European Working Group of Myelodysplastic Syndromes in Childhood (EWOG-MDS)“ und des „Severe Congenital Neutropenia Registry (SCNIR)“, sowie eine gut charakterisierte Gruppe von Patienten mit Leukämieprädisposition bei bekannter Thrombozytopenie. Gemeinsam umfassen diese drei Kohorten 550 Menschen mit einer genetischen Veranlagung für myeloische Neoplasien im jungen Lebensalter.

Ziele sind die genaue Erfassung von medizinischen Auffälligkeiten und Problemen („deep phenotyping“) der Betroffenen, das standardisierte Vorgehen bei jährlichen Untersuchungen des Knochenmarks zur frühzeitigen Erkennung von leukämischen Veränderungen sowie die Entdeckung neuer genetischer Syndrome mit Veranlagung zu myeloischen Neoplasien. Ein weiteres Ziel ist die Auswertung der Behandlungsergebnisse einzelner Therapieformen wie der Stammzelltransplantation und das Erstellen von Therapieempfehlungen. Um den betroffenen Menschen aktuelles Wissen in verständlicher Form zur Verfügung zu stellen, werden wir allgemein verständliche aktuelle Informationen für betroffene Menschen und die Öffentlichkeit bereitstellen, um die Selbstbestimmung und den Erfahrungsaustausch der Betroffenen zu unterstützen.

In seinen wissenschaftlichen Teilprojekten beleuchtet MyPred unterschiedliche Aspekte der malignen Entartung bei den verschiedenen Syndromen. Hierzu gehört die Beschreibung des zeitlichen Auftretens neuer, erworbener genetischer und epigenetischer Veränderungen in den blutbildenden Zellen. Solche wiederkehrenden und Syndrom-übergreifenden Veränderungen können Ausgangspunkte für die Entwicklung neuer, zielgerichteter Therapien sein. Ein anderer Schwerpunkt von MyPred liegt in der Erforschung der sogenannten Knochenmarknische, die die räumliche Nähe zwischen blutbildenden und nicht-blutbildenden Zellen im Knochenmark darstellt. Hiermit soll die Frage beantwortet werden, ob und wie extrinsische Signale die Entwicklung der Knochenmarkzellen zur Neoplasie beeinflussen.

Kurz berichtet

Im Rahmen des deutschlandweiten Harmonisierungsprozesses aller Ethikkommissionen wurde eine Vorgabe der Bundesärztekammer und des Arbeitskreises Medizinischer Ethik Kommissionen herausgegeben, nach der alle Prüfer, bzw. Stellvertreter und Hauptprüfer, die zuletzt einen Prüferkurs (AMG) vor dem Jahr 2013 absolviert haben, ab 1. April 2019 einen Aufbaukurs (AMG) besuchen müssen.

Bitte melden Sie sich ggf. zeitnah für einen entsprechenden Kurs an!

Weitere Informationen auch unter: <https://www.uniklinik-freiburg.de/zks/fortbildungen.html>



Mit diesem Logo kennzeichnen wir Beiträge, die wir als besonders interessant für Lehrkrankenhäuser und niedergelassene Ärzte erachten.

Platzierung des Newsletters

Intranet ZKJ:

<http://intranet.ukl.uni-freiburg.de/organisation-einrichtungen/departments/zkj/mitarbeiter-infos/studiensekretariat/>

Internet:

<https://www.uniklinik-freiburg.de/kinderklinik/klinische-studien/newsletter1.html>

Übersicht der laufenden Klinischen Studien am ZKJ

Intranet ZKJ:

<http://intranet.ukl.uni-freiburg.de/organisation-einrichtungen/departments/zkj/mitarbeiter-infos/studiensekretariat/>

Internet:

<https://www.uniklinik-freiburg.de/kinderklinik/klinische-studien.html>

***Für Rückfragen steht Ihnen das Team des Studiensekretariats gerne zur Verfügung
und wünscht Ihnen
eine schöne Frühlingszeit und Frohe Ostertage!!***



zkj.studien@uniklinik-freiburg.de

Redaktion: Susanne Grüninger, PD Dr. Simone Hettmer

Ausführliche Beiträge: Dr. Michael Barth, Dr. Miriam Erlacher, Prof. Dr. Christian Flotho, Dr. Anneke Haddad