

Aktualisierung-Nr. 18 des klinischen Programms AIDNPC *(Arimoclomol zur Behandlung der Niemann-Pick-Krankheit Typ C)*

Zwischeninformation (im Anschluss an die Telefonkonferenz vom 28. Dezember)

ZUSAMMENFASSUNG

- z Studie 001: Status
- z Studie 002: Status und Zeitplan
- z Ein vereinfachtes NPC-CSS-Bewertungswerkzeug mit 5 Bereichen
- z Wird von Orphazyme anlässlich des WORLDSymposium in San Diego vorgestellt



Das klinische Studienprogramm AIDNPC besteht aus zwei Studien:

- ***Beobachtungsstudie 001, Studie abgeschlossen***
- ***Interventionsstudie 002, Rekrutierung abgeschlossen***



Studie 001: Status

Die Studie wurde im Mai 2017 abgeschlossen. Insgesamt wurden 36 Patienten an 12 Zentren in 8 Ländern eingeschlossen.

Das Hauptziel von Studie 001 war die Charakterisierung des Profils des Krankheitsfortschreitens bei den einzelnen Patienten anhand von prospektiv aufgezeichneten klinischen, biologischen und lebensqualitätsbezogenen Messgrößen sowie der aus den Krankenakten der Patienten erhobenen Informationen zur Erkrankungsvorgeschichte.

Die Datenbank der Studie 001 wurde geschlossen und die Datenanalyse wird derzeit durchgeführt. Die Ergebnisse dieser Beobachtungsstudie an NPC-Patienten, die die besondere Stärke einer prospektiven, am Design der 002-Studie ausgerichteten Studie besitzt, wird bei den Konferenzen im nächsten halben Jahr präsentiert und dient der Festlegung der Erwartungen bezüglich der Ergebnisse der 002-Studie. Das bedeutet zum Beispiel, dass die Ergebnisse die Grundlage für einen Ausgangspunkt für spätere Analysen der 002-Studie bilden.

Studie 002: Status und Zeitplan

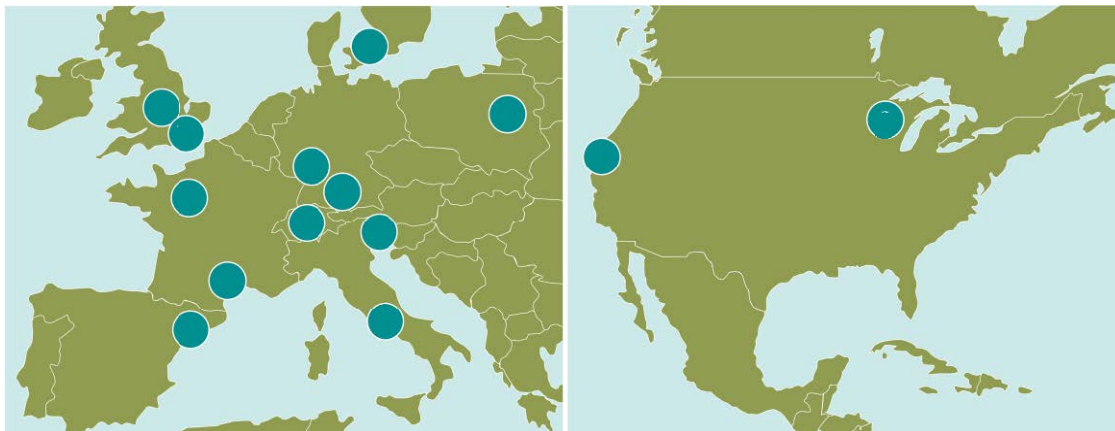
Der letzte Patient in der 002-Studie (eine Phase-2/3-Studie) wurde im Mai 2017 eingeschlossen. Insgesamt ergeben sich 50 eingeschlossene und randomisierte Patienten, von denen insgesamt 27 aus der 001-Studie übernommen wurden. Wir rechnen damit, dass uns die Ergebnisse dieser Studie im Herbst 2018 vorliegen. Da alle Patienten den verblindeten Studienteil abgeschlossen haben, wird ihnen angeboten, an der offenen (nur Arimoclomol) Verlängerungsstudie teilzunehmen.

Die folgenden Standorte nehmen an der Studie 002 teil:

Kopenhagen, Dänemark
Birmingham,
Vereinigtes Königreich
Great Ormond St,
Vereinigtes Königreich

Mainz, Deutschland
München, Deutschland
Paris, Frankreich
Montpellier, Frankreich
Barcelona, Spanien

Warschau, Polen
Udine, Italien
Rom, Italien
Rochester, MN-USA
Oakland, CA-USA

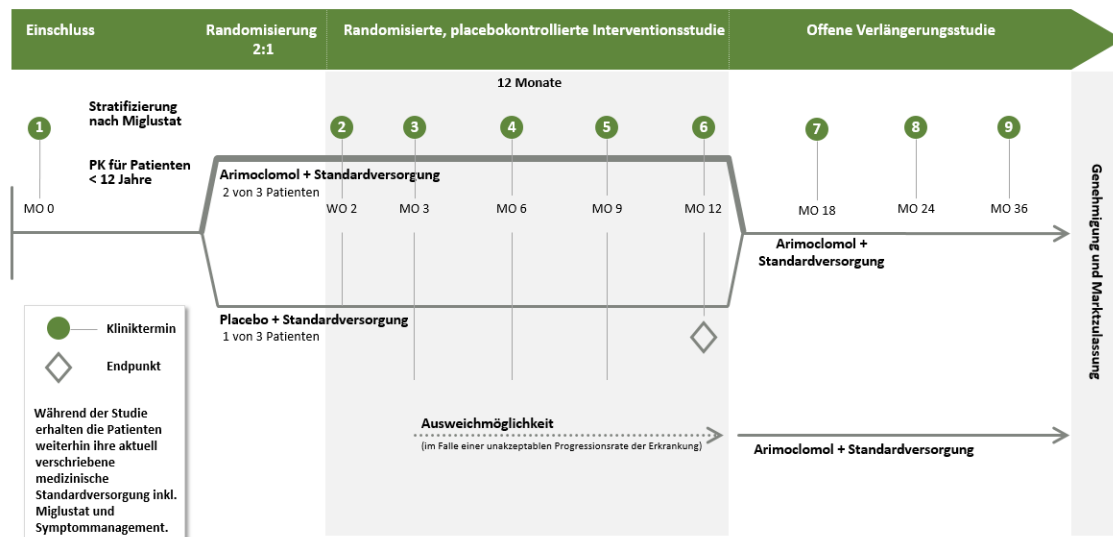


Ein vereinfachtes NPC-CSS-Bewertungswerkzeug mit 5 Bereichen Orphazyme hat die Validierung eines vereinfachten NPC-CSS-Bewertungswerkzeugs mit 5 Bereichen abgeschlossen, das dazu dient, die Verfolgung und Bewertung von NPC-Patienten in Zukunft zu verbessern. Die Bereiche bei diesem NPC-CSS-Bewertungswerkzeug mit 5 Bereichen sind Gehfähigkeit, Feinmotorik, Schlucken, Sprache und Kognition. Dieses Bewertungswerkzeug wird bei der klinischen Beurteilung der Patienten der 002-Studie verwendet.

Orphazyme beim WORLDSymposium in San Diego
 Orphazyme wird am 14. jährlichen WORLDSymposium™ teilnehmen und seine Ergebnisse vorstellen.
 2018 in San Diego (5–9. Februar 2018).

Überblick über das klinische Design
 In der nachfolgenden Grafik ist das Design der Studie 002, einschließlich der Anzahl und des Terminplans der Patiententermine in den Prüfzentren, abgebildet. Für Patienten, bei denen es zu einer inakzeptablen Progressionsrate der Erkrankung kommt, wird eine Ausweichmöglichkeit angegeben.

Studiendesign CT-ORZY-NPC-002



Wir empfehlen Ihnen, die obigen Informationen an die Patientengemeinschaft weiterzugeben.

Nächste Telefonkonferenz:
 Die nächste AIDNPC-Telefonkonferenz ist für Donnerstag, den 29. März 2018 um 15:00 Uhr EDT vorgesehen.

