

MICONOS-Studie: Keine Wirkung von Idebenone bei FA (?)

Idebenone wurde in den letzten Jahren als aussichtsreiches Medikament zur Behandlung der Friedreich-Ataxie gesehen. Zahlreiche kleinere Studien hatten Hinweise auf einen positiven Effekt bei der Kardiomyopathie gegeben. Eine Dosisfindungsstudie (NICOSIA - National Institutes of Health Collaboration with Santhera in Ataxia), die auf die Untersuchung der Verträglichkeit von hohen Dosen von Idebenone ausgerichtet war, hatte sogar unerwartet eine Verbesserung der Ataxie bei jungen, leichter betroffenen Friedreich-Patienten gezeigt. Diese Ergebnisse sollten in zwei großen, internationalen Studien gesichert werden, um eine Zulassung von Idebenone zur Behandlung der Friedreich-Ataxie zu erreichen.

In der IONIA-Studie (Idebenone Effects On Neurological ICARS Assessments) wurde der Effekt von Idebenone bei 70 Kindern im Alter von 8 - 17 Jahren untersucht. Die Studie dauerte 6 Monate und wurde in den USA durchgeführt. Leider war im Vergleich zu Placebo keine Verbesserung der Ataxie (gemessen mit der International co-operative ataxia rating scale - ICARS) nachweisbar.

Die an 13 europäischen Zentren durchgeführte MICONOS-Studie (Mitochondrial Protection with Idebenone in Cardiac or Neurological Outcome Study) schloss 232 überwiegend erwachsene Friedreich-Patienten ein und hatte vier Behandlungsarme:

1. Niedrig dosiertes Idebenone (180 bzw. 360 mg/Tag abhängig vom Körpergewicht; höhere Dosis bei > 45 kg);
2. mittlere Idebenonedosis (450 bzw. 900 mg/Tag);
3. Hochdosis Idebenone (1350 bzw. 2250 mg/Tag) und
4. Placebo.

Die verblindete Phase der Studie, in der weder die Patienten noch die Ärzte wussten, in wel-

chem Behandlungsarm die Patienten waren, dauerte 1 Jahr. Nach diesem Jahr hatte sich die Ataxie in allen Gruppen verschlechtert mit einer Zunahme der ICARS-Werte um 1,2 Punkte in der Placebogruppe, 1,6 Punkte unter niedrig dosiertem Idebenone, 1,7 Punkte mit der mittleren Idebenonedosis und 1,2 Punkte unter hoch dosiertem Idebenone.

Die Analysen bezüglich der Kardiomyopathie sind noch nicht abgeschlossen. Allerdings zeigte sich in den bislang durchgeführten Auswertungen auch kein positiver Effekt von Idebenone auf die Herzbeteiligung bei Friedreich-Ataxie. Positiv war, dass alle Studien eine sehr gute Verträglichkeit von Idebenone für Friedreich-Ataxie-Patienten zeigten.

Nach Abschluss der verblindeten Phase (1 Jahr) wurde allen Teilnehmern der MICONOS-Studie angeboten, im Rahmen einer offenen Extensionsstudie über 2 Jahre hinweg hochdosiertes Idebenone zu erhalten. Diese offene Hochdosisstudie soll trotz der negativen MICONOS-Ergebnisse zu Ende geführt werden, da sich ein positiver Trend für Idebenone errechnen ließ, wenn die Daten aller 344 Patienten kombiniert wurden, die in NICOSIA, IONIA und MICONOS über 6 Monate hochdosiertes Idebenone erhielten.

Eine endgültige Entscheidung über die Fortsetzung der Forschung mit Idebenone bei der Friedreich-Ataxie hat die verantwortliche Firma Santhera Pharmaceuticals noch nicht gefällt.

Prof. Dr. Ludger Schöls

Weitere Infos:

www.santhera.com

www.fataxie.net --> Forum --> FA

www.babelFamily.org

auch

www.erssoft.de/html/idebenone.html