

Infoblatt

EXIST-1 (EXamining everolimus in a Study of TSC)

Hintergrund

EXIST-1 ist eine von Novartis gesponsorte, randomisierte, placebo-kontrollierte Phase III Studie zum Einsatz von Everolimus bei Patienten mit subependymalen Riesenzellastrozytom (SEGA) im Rahmen einer tuberösen Sklerose-Erkrankung (TSC). Everolimus ist ein selektiver mTOR Signalweg-Inhibitor, der bei TSC-Patienten unkontrolliert aktiv ist und zu der Erkrankung führt. Neben der anti-tumoralen Wirksamkeit gibt es auch Hinweise für eine anti-krampfbildende Wirkung von Everolimus bei TSC-Patienten.

Welche Patienten können eingeschlossen werden?

- klinische Diagnose einer TSC (modifizierte Gomez-Kriterien)
- mindestens ein SEGA \geq 1cm im Längsdurchmesser
- SEGA muss progredient sein oder ein progredienter Hydrozephalus leiden
- kein unkontrollierter Diabetes oder Hypercholesterinämie
- keine schwere Nieren-, Leber- oder Lungenerkrankung
- nicht schwanger sein oder stillen

Wie oft müssen Patienten in das behandelnde Zentrum kommen?

In den ersten 2 Monaten sind 14-tägige ambulante Vorstellungen vorgesehen. Danach erfolgen die Untersuchungen alle 4-12 Wochen bis zum Ende der Studie.

In welchen Zentren können die Patienten im Rahmen der Studie behandelt werden?

In Deutschland stehen 2 Zentren zur Verfügung:

Professor Dr. med. Olaf Witt (LKP für Deutschland)
Priv. Doz. Dr. med. Friederich Ebinger
Klinik f. Pädiatrische Onkologie, Hämatologie und Immunologie
Klinik f. Neuropädiatrie
Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Universität Heidelberg
Im Neuenheimer Feld, 69120 Heidelberg
Tel.: 06221-423570 Mobil: 0160-90523836
Email: o.witt@dkfz.de

Priv. Doz. Dr. med. Pablo Hernáiz Driever
Pädiatrische Neuroonkologie
Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Onkologie/Hämatologie
Charité-Universitätsmedizin Berlin, Campus Virchow Klinikum
Augustenburger Platz 1, D-13353 Berlin
Tel:030-450666173
Email: pablo.hernaiz@charite.de