

INTENT-Studie



Indikation

Erstmanifestation des steroidsensiblen nephrotischen Syndroms (SSNS) im Kindesalter

Primärer Endpunkt

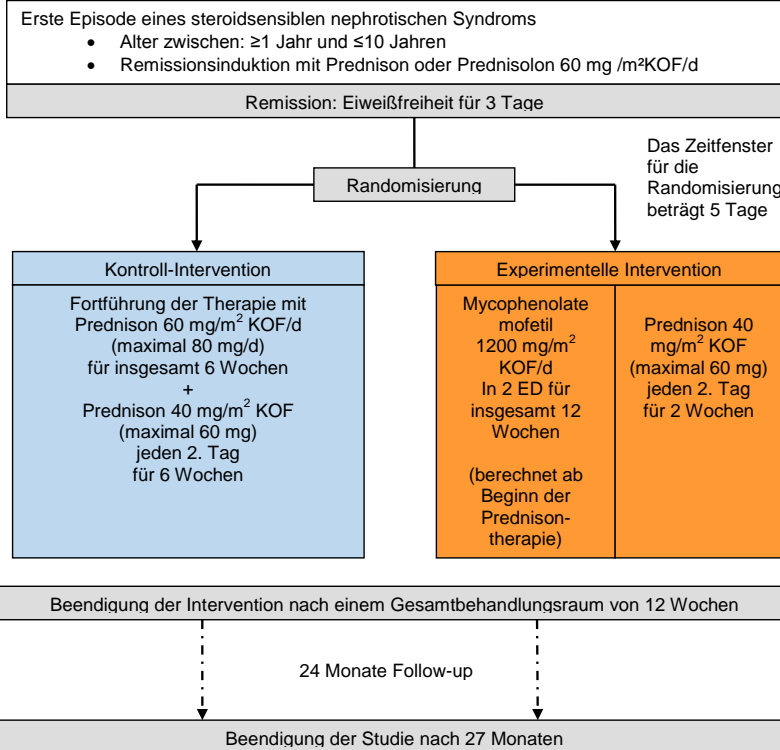
Auftreten eines behandelten Rezidivs innerhalb von 24 Monaten nach dem Ende der Initialtherapie

Einschlusskriterien

- Erstmanifestation des SSNS
- Remission, die durch Prednison oder Prednisolon 60 mg/m²KOF pro Tag innerhalb 28 Tagen induziert wurde
- Jungen und Mädchen; Alter zu Beginn der Studie: ≥1 Jahr und ≤10 Jahre
- Fähigkeit der Sorgeberechtigten des Patienten, den Charakter und die individuellen Konsequenzen der klinischen Studie zu verstehen
- Schriftliche Einwilligung zur Studienteilnahme der Sorgeberechtigten der Patienten

Ausschlusskriterien

- Sekundäres nephrotisches Syndrom
- Glomeruläre Filtrationsrate (eGFR1) <90 ml/min x 1,73m² KOF
- Bestehende Behandlung mit systemischen Glukokortikoiden oder anderen Immunsuppressiva zur Zeit der Erstmanifestation des nephrotischen Syndroms
- Hämoglobinkonzentration <9g/dL
- Leukozytenzahl ≤2.500/µl
- Schwere chronische gastrointestinale Erkrankung
- Bekannte Überempfindlichkeit gegenüber Mycophenolat-mofetil oder gegenüber einem Metaboliten oder gegenüber irgendeinem Bestandteil der pharmazeutischen Formulierung der Suspension von Mycophenolat-mofetil (MMF/ CellCept Suspension®)
- Ablehnung der Studienteilnahme durch den Patienten
- Teilnahme in einer anderen klinischen Studie oder in der Beobachtungsphase vergleichbarer Studien

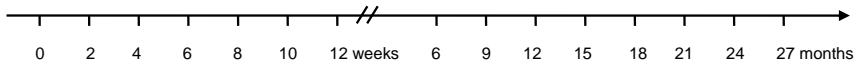


Visit	Nummer	Zeitpunkt*	Zeitfenster
Screening/Studienstart	Visit 1		0-5 Tage nach Remission
Zwischensite	Visit 2	4 Wochen nach Visite 1	± 5 Tage
Letzte Behandlungswoche	Visit 3	11 Wochen nach Tag 1 (= 1. Tag der Initialbehandlung)	± 7 Tage
1. Follow-up	Visit 4	6 Monate nach Tag 1	± 14 Tage
2. Follow-up	Visit 5	9 Monate nach Tag 1	± 14 Tage
3. Follow-up	Visit 6	15 Monate nach Tag 1	± 14 Tage
4. Follow-up	Visit 7	21 Monate nach Tag 1	± 14 Tage
5. Follow-Up und Studienende	Visit 8	27 Monate nach Tag 1	± 14 Tage

Tag 1 = Start der Standardtherapie

Das Wichtigste in Kürze:

- Vorliegen einer schriftlichen Einwilligungserklärung **aller** Erziehungsberechtigten **vor** Einschluss
- Aufklärung und Einwilligung bereits **kurz nach Erst-diagnose** möglich (am Prüfzentrum)
- Einschluss, Randomisierung und Durchführung der Visite 1 **innerhalb von 5 Tagen** nach Remission, Beginn der Studienbehandlung gemäß Randomisierungsergebnis:
 - Arm A: Standardbehandlung mit Prednison
 - Arm B: Studienbehandlung mit MMF
- Gesamtdauer der Therapie: 12 Wochen (inkl. Zeit der Standardtherapie nach Erstdiagnose!)
- Beobachtungsdauer nach Initialtherapie: weitere 24 Monate, d.h. insgesamt 27 Monate Studiendauer pro Patient
- Rezidiv ist kein Drop Out
- Behandlung eines Rezidiv erfolgt nach GPN-Standard
- Wenn Studienpatient stationär aufgenommen wird und in der Klinik Prednison nicht zur Verfügung steht, wird **Prednisolon mit 80% der Prednisondosis** verabreicht.



	Visit 1	Visit 2	Visit 3	Visit 4	Visit 5	Visit 6	Visit 7	Visit 8
Med. history	X	X	X	X	X	X	X	X
Examination	X	X	X	X	X	X	X	X
BMI	X	X	X	X	X	X	X	X
BP	X	X	X	X	X	X	X	X
Urine test	X	X	X	X	X	X	X	X
Blood test	X	X	X	X	X	X	X	X
TDM MPA		X	X					
24 h ABPM	X				X			X
Echocardio.	X				X			X
Ophthalmol.	X				X			X
HRQoL	X				X			X

Anamnese/ Besprechung

Insbesondere Überprüfen des Patiententagebuchs (Rezidiv), Erfragen von Verhaltensänderungen (Traurigkeit, Ängstlichkeit, Reizbarkeit, Euphorie, Aggressivität), Übelkeit, Erbrechen, Diarrhoe, Kopfschmerzen, Muskelschwäche und Infektionen; Überprüfen der Medikation seit letzter Visite

Körperlicher Untersuchungsbefund

Insbesondere sind Hautveränderungen (Akne, cushingoides Fazies, Striae, Hypertrichosis) und Pubertätsstadium zu dokumentieren.

Urinuntersuchung

- Urinteststreifen Albustix®
- Quantitativ im Labor: Kreatinin, Eiweiß, Albumin

Blutabnahme (Visite 1, 2, 3, 5, 6, 8)

- Blutbild
- HbA_{1c}
- Kreatinin
- Harnstoff/ Harnstoff-N
- Harnsäure
- Calcium
- Phosphat
- Gesamt-Eiweiß
- Albumin
- GPT/ ALT
- Alkal. Phosphatase
- IgG
- IgE
- Cholesterin
- 25-OH Vitamin D

MPA-Pharmakokinetik (Visite 2 und 3)/ Arzneimittelprofil

1. Anlegen einer Venenverweilkanüle und Abnahme des Talspiegels vor Einnahme des CellCept® und Etikettierung (0 min)
 2. Einnahme des CellCept®
 3. Blutabnahme über die Venenverweilkanüle 60 min nach Einnahme des CellCept® und Etikettierung (60 min)
 4. Blutabnahme über die Venenverweilkanüle 120 min nach Einnahme des CellCept® und Etikettierung (120 min)
- Für jede Probe sind 1,2 ml EDTA Blut erforderlich.
 - Jede Probe soll nach der Abnahme zentrifugiert werden.
 - Das EDTA-Plasma soll dann bei -20°C gelagert werden.
 - Alle Proben werden am Ende der Studie im Gesamten auf Trockeneis versendet.

24h-Blutdruckmessung, Echokardiographie, Augenarzt

Diese Untersuchungen können bei Visite 1 von 21 Tage vor oder bis 7 Tage nach dem Visitermin durchgeführt werden.

Bei den Visiten 5 und 8 geht das Zeitfenster von 28 Tagen vor bis 28 Tage nach dem Visitermin.

Fragebogen zur gesundheitsbezogenen Lebensqualität

- Es gibt jeweils einen Fragebogen für die Kinder und Eltern (bei 2 Sorgeberechtigten ist ein Fragebogen ausreichend).
 - Kinder <4 Jahren → keine Fragebögen
 - Kinder 4-7 Jahre → INTENT_FB_4_Kind bzw. Eltern
 - Kinder >7 Jahre → INTENT_FB_8_Kind bzw. Eltern
- Alle Fragebögen im ISF oder als download auf: www.intent-study.de
- Es gilt das **Alter des Kindes zum jeweiligen Visitedatum**.
- Fragebögen im Original an das Datenmanagement schicken, Kopie im ISF ablegen.