

Universitätsmedizin Göttingen, D-37099 Göttingen  
Zentrum Neurologische Medizin, Klinik für Klinische Neurophysiologie

Zentrum Neurologische Medizin  
Klinik für Klinische Neurophysiologie  
Direktor: Prof. Dr. W. Paulus

**Oberarzt**

Univ. Prof. Dr. med. Michael W. Sereda  
DFG Heisenberg-Professor für hereditäre Neuropathien  
Leiter der Neurogenetik-Ambulanz

+49 (0)551 39 - 6652 **Terminvergabe**

D-37099 Göttingen **Briefpost**  
Robert-Koch-Straße 40, D-37075 Göttingen **Adresse**  
+49 (0)551 39 - 6650 / 6652 **Telefon**  
+49 (0)551 39 - 8126 **Fax**  
sereda@em.mpg.de **E-Mail**

Se **Aktenzeichen**

11.03.2020

**Datum**

## Update zur geplanten Lecithin Studie für CMT1A Patienten

Liebe CMT Patientinnen und Patienten,

hiermit möchten wir Ihnen ein kurzes Update zu der geplanten klinischen Lecithin Studie für CMT1A Patienten geben und schließen somit an unsere im Mai 2019 herausgegebene „Klarstellung im Umgang mit Lecithin bei CMT“ (siehe [www.cmt-net.de](http://www.cmt-net.de)) an.

Generell ist eine wesentliche Voraussetzung für die Durchführbarkeit von Studien die Einwerbung von Fördermitteln (aus öffentlichen Mitteln oder auch von Pharmaunternehmen), da die Haushaltsmittel eines Krankenhauses bzw. einer Abteilung die meist recht hohen Kosten einer Studie (für Medikation, Versicherungen, beteiligtes Personal etc.) nicht abdecken können. Daher haben wir bereits im Juni 2019 in einem insgesamt zweistufigen Begutachtungsverfahren einen ersten Förderantrag („Skizze“) für die Studie eingereicht. Diese Skizze wurde von internationalen Experten bewertet und im Dezember 2019 haben wir einen positiven Bescheid und die damit verbundene Einladung zur Einreichung eines ausführlichen Antrags erhalten (2. Stufe des Begutachtungsverfahrens). Somit ist bereits eine große Hürde geschafft, da die Einwerbung von Fördermitteln im Bereich der klinischen Studien hochkompetitiv ist und das zweistufige Verfahren dazu dient, einen Großteil der eingereichten Anträge bereits als Skizze abzulehnen. Unser ausführlicher Antrag wurde Mitte Februar 2020 fristgerecht eingereicht und wir erwarten im Mai 2020 eine endgültige Entscheidung über die Förderung der Studie.

Falls die Förderung bewilligt wird, gehen wir davon aus, die Zustimmung der Ethikkommission vorausgesetzt, dass wir mit der **Rekrutierung Ende 2020/Anfang 2021 starten** würden. Geplante Zentren wären neben **Göttingen Aachen, Leipzig und Würzburg**. Die **Studiendauer** würde insgesamt **27 Monate** mit **Visiten zunächst im halbjährlichen Abstand** betragen. Ihre Information und ggf. der **Aufruf** zur Studie ist über das **CMT-Register** ([www.cmt-register.de](http://www.cmt-register.de))

geplant (inklusive Ein- und Ausschlusskriterien sowie Ansprechpartner). An dieser Stelle ist zu betonen, dass es sich bei der geplanten Lecithin Studie um eine Studie für Patienten mit humangenetisch gesicherter Diagnose einer CMT1A handelt. Sobald es Neuigkeiten gibt, erhalten Sie über das CMT-Register Bescheid.

Unsere geplante Studie dient dazu, die vielversprechenden **Daten** aus der Zellkultur und aus dem Tiermodell (Informationen siehe [www.cmt-net.de](http://www.cmt-net.de)) **auf Patienten** zu übertragen, d.h. zu **translatieren**. Derzeit können wir **nichts zu einer möglichen Wirkung und Dosierung bei Patienten sagen**. Die **vorherige Einnahme von Lecithin** wäre ein **Ausschlusskriterium** der Studie.

Generell empfehlen allen CMT Patienten, sich im CMT-Register als Teil des Forschungsnetzwerks CMT-NET anzumelden, um so über Aufrufe zu Studien sowie Neuigkeiten auf dem Gebiet der CMT informiert zu werden. Das Register sammelt Daten über Patienten mit CMT (auch HMSN oder hereditäre Neuropathie bekannt), Betroffene können sich über die Webseite registrieren und ihre Daten eintragen. Die gesammelten Informationen helfen der Forschung und ermöglichen es, Teilnehmer für klinische Studien zu finden. Das CMT-Patientenregister ist zusammen mit den universitären CMT Spezialambulanzen in Göttingen, Münster, München und Aachen Teil des deutschlandweiten Forschungsnetzwerkes CMT-NET für erbliche Neuropathien. Auf der Homepage des CMT-NET ([www.cmt-net.de](http://www.cmt-net.de)) sind die Zentren zu CMT in Deutschland sowie Informationen zur Erkrankung und Kontakte zu Patientenorganisationen gelistet.

Falls Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich bitte an die CMT-NET Netzwerk Managerin Frau Dr. Lisa Reinecke, Tel: 0551 39 9662, E-Mail: [lisa.reinecke@med.uni-goettingen.de](mailto:lisa.reinecke@med.uni-goettingen.de)).

Mit freundlichen Grüßen



Prof. Dr. Michael Sereda, Koordinator CMT-NET