

Wir sind entschlossen, in der Forschung zur Myotonen Dystrophie weitere Fortschritte zu erzielen

Derzeit gibt es keine zugelassenen Therapien für Myotone Dystrophie Typ 1 (DM1). Deshalb wird in der Studie ACHIEVE eine Prüftherapie namens DYNE-101 erforscht. Wir wollen herausfinden, ob sie Menschen, die mit DM1 leben, helfen kann. DYNE-101 wurde von Dyne Therapeutics entwickelt mit dem Ziel, ein mit einem Antikörper-Fragment (Fab) verknüpftes Antisense-Oligonukleotid (ASO) anwenden zu können. Die ASO sind gegen die toxische *DMPK*-RNA gerichtet, von der angenommen wird, dass sie die DM1-Erkrankung verursacht.

Wer kann an dieser Studie teilnehmen?

Die Teilnehmer an der ACHIEVE-Studie müssen:

- zwischen 18 und 50 Jahre alt sein,
- eine Griffmyotonie haben, die eine Verzögerung der Handöffnungszeit von 2 Sekunden oder mehr verursacht,
- in der Lage sein, eine Reihe von Muskelfunktionsprüfungen sicher durchzuführen, ohne Hilfsmittel oder Mobilitätshilfen wie Stöcke, Krücken oder Gehhilfen zu benutzen,
- nicht von fortgeschrittenen Herz- oder Atemproblemen betroffen sein,
- während der Studie darauf verzichten, schwanger zu werden oder ein Kind zu zeugen,
- in der Lage sein, die Anweisungen für die Studie ACHIEVE zu lesen und zu verstehen, und sich bereiterklären, ohne fremde Hilfe an der Studie teilzunehmen.

Wie lange dauert diese Studie?

Eine Teilnahme an der Studie könnte etwa 3 Jahre dauern. Die Teilnahme an dieser Studie ist jedoch vollkommen freiwillig. Die Teilnehmer können jederzeit ausscheiden. Das Ausscheiden aus der Studie hat keine Auswirkungen auf die medizinische Betreuung außerhalb der Studie.

Sind mit der Teilnahme Kosten verbunden?

Die Behandlung im Rahmen der Studie sowie alle Studientests und -verfahren der Studie sind für die Studienteilnehmer kostenlos. Außerdem werden den Teilnehmern die genehmigten Reisekosten erstattet. Für Teilnehmer, die studienbezogene Reisen für sich organisieren lassen möchten, steht kostenfrei ein Serviceleister zur Verfügung.

Weitere Informationen erhalten Sie von:

ClinicalTrials-Schoer-FBI@med.uni-muenchen.de

