

IntraBio Inc. freut sich, die Pivotalstudie IB1001-303 "Auswirkungen von N-Acetyl-L-Leucin auf Ataxia-Telangiectasia (A-T): Eine randomisierte, placebokontrollierte, doppelblinde Crossover-Studie der Phase III".

Die Studie wird an 11 multinationalen Standorten in Europa, dem Vereinigten Königreich und den Vereinigten Staaten durchgeführt. Angesichts des großen Interesses an der Studie wird erwartet, dass die Rekrutierung schnell erfolgen wird. **Die Rekrutierung soll im März 2025 beginnen und bis zum 15. Juni 2025 offen sein. Patienten und Angehörige, die mehr über die Studie erfahren möchten, einschließlich der Zulassungskriterien und des Aufnahmeverfahrens, werden daher gebeten, sich mit dem für sie in Frage kommenden Studienzentrum in Verbindung zu setzen (siehe Kontaktangaben unten)**

Im Folgenden finden Sie eine kurze Zusammenfassung der Zulassungskriterien, des Studiendesigns und der Studienzentren. Die vollständigen Zulassungskriterien sowie Einzelheiten zu den Studienbewertungen, multinationalen klinischen Prüfzentren usw. finden Sie auf [ClinicalTrials.Gov \(NCT06673056\)](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06673056)

IB1001-303 ÜBERSICHT

Medikament

N-Acetyl-L-Leucin (IB1001) ist eine modifizierte Aminosäure, die oral verabreicht wird (Sachet). Im September 2024 wurde N-Acetyl-L-Leucin von der US Food and Drug Administration für die Behandlung der Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) zugelassen.

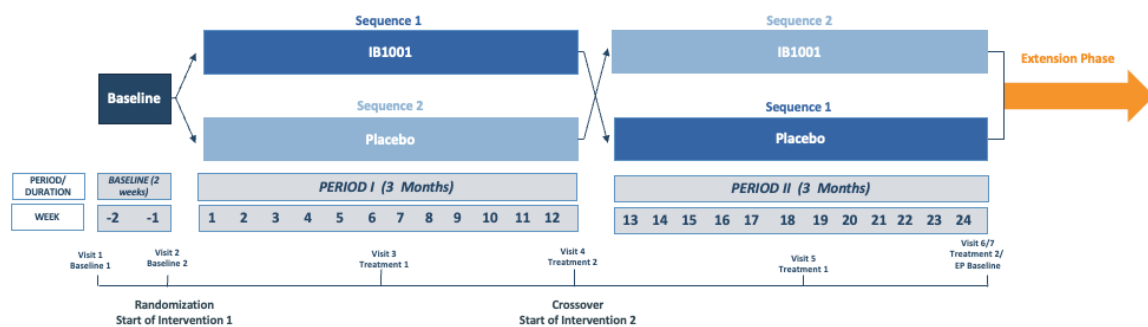
Kriterien für die Zuschussfähigkeit

Patienten ab einem Alter von 4 Jahren können an allen Prüfzentren rekrutiert werden. Die Patienten müssen neurologische Symptome haben und dürfen keine anderen Prüfpräparate einnehmen (einschließlich Prüfpräparate in Programmen mit erweitertem Zugang). Die vollständigen Studienverfahren und Zulassungskriterien sind auf [ClinicalTrials.Gov \(NCT06673056\)](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06673056) veröffentlicht

IB1001-303 Studienaufbau

IB1001-303 ist eine multinationale, randomisierte, placebokontrollierte, doppelt verblindete, gekreuzte Phase-III-Studie. Die Patienten werden im Verlauf der Studie sowohl mit IB1001 als auch mit einem entsprechenden Placebo behandelt.

Die Patienten werden bei 6 Studienbesuchen während dreier Studienperioden untersucht: eine Basisperiode (etwa 14-21 Tage), die erste Interventionsperiode ("Periode I"; etwa 84-91 Tage) und die zweite Interventionsperiode ("Periode II"; etwa 84-91 Tage). Die Patienten werden während jedes Interventionszeitraums zweimal untersucht (**Abbildung 1**).



Verbotene Medikamente: Patienten, die Tanganil (oder andere Formen von N-Acetyl-Leucin, die nicht in IB1001-301 enthalten sind) einnehmen, müssen die Einnahme des Medikaments für 6 Wochen vor dem Screening (Besuch 1) einstellen ("washout") und müssen während der gesamten Dauer der Studie Tanganil/andere Formen von N-Acetyl-Leucin absetzen.

Randomisierung: Bei **Besuch 2** (Baseline 2) werden die Patienten nach dem Zufallsprinzip (1:1) auf zwei Randomisierungssequenzen verteilt:

- **Sequenz 1:** Ab **Besuch 2** (Baseline 2) erhalten die Patienten IB1001 während der Periode I (für etwa 84 Tage). Am Ende der Periode I (Besuch 4) wird der Patient "überwechseln" und sofort während der Periode II (für etwa 84 Tage) ein Placebo erhalten.
- **Ablauf 2:** Ab **Besuch 2** (Baseline 2) erhalten die Patienten während des Zeitraums I (etwa 84 Tage lang) ein Placebo. Am Ende des Zeitraums I (Besuch 4) erhalten die Patienten während des Zeitraums II (für etwa 84 Tage) IB1001.

Behandlung: Während der Studie erhält jeder Patient eine etwa 12-wöchige Behandlung mit IB1001 und eine 12-wöchige Behandlung mit Placebo. Die Patienten, ihre Familienangehörigen und das Studienteam werden nicht wissen, wann sie mit IB1001 oder Placebo behandelt werden.

Studienbeurteilungen: Es werden Standard-Funktionsprüfungen (z. B. SARA, SCAFI, ICARS) sowie Fragebögen zur Lebensqualität durchgeführt. Es gibt keine invasiven Verfahren (z. B. Lumbalpunktionen). Es werden Blut- und Urinproben entnommen sowie körperliche Untersuchungen und 12-Kanal-EKGs durchgeführt.

Verlängerungsphase

Patienten, die die Studie abschließen (Besuch 6), können (wenn ihr Prüfarzt (Principal Investigator, PI) entscheidet, dass dies in ihrem Interesse ist) an einer offenen Verlängerungsphase teilnehmen, in der die Patienten mindestens ein Jahr lang mit IB1001 behandelt werden.

Reisekosten und Erstattungen

Für alle Patienten übernimmt IntraBio die Reisekosten (z. B. Transport, Hotel, Verpflegung, COVID-19-Tests) für den Patienten und ein Familienmitglied/Betreuungsperson zur Teilnahme an jedem Studienbesuch. Europäische Patienten aus anderen Ländern (z.B. wo es keine Studienzentren gibt) können zur Teilnahme an den Studienzentren in Deutschland und der Schweiz reisen. Alle Dokumente werden in die Muttersprache des Patienten übersetzt, und Übersetzer werden während der Studienbesuche vor Ort zur Verfügung stehen.

Alle Studienzentren und ihre jeweiligen Ansprechpartner sind unten aufgeführt. Wenn Sie weitere Fragen zur Studie/Rekrutierung haben, wenden Sie sich bitte an:

Taylor Fields
Chief Development Officer & Präsident, Produktentwicklung IntraBio
E-Mail: tfields@intrabio.com

IB1001-303 VERSUCHSGELÄNDE

GERMANY 2 Standorte)

Universität zu Köln

PI: Kyriakos Martakis, MD

Kontakt: kyriakos.martakis@uk-koeln.de

Universität Gießen

PI: Andreas Hahn, MD

Kontakt: Kyriakos.Martakis@paediat.med.uni-giessen.de

SPANIEN (1 Standort)

Krankenhaus Universitario La Paz, Madrid

PI: María del Mar García Romero, MD

Kontakt: yambee@hotmail.com

SLOWAKEI (2 Standorte)

Comenius-Universität in Bratislava

PI: Miriam Koníková, MUDr, PhD

Kontakt: Katarína

E-Mail:

Universitätsklinikum L. Pasteur in Kosice

PI: Matej Skorvanek MD, PhD

Kontakt: mskorvanek@gmail.com

SWITZERLAND (1 Standort)

Universitätsspital Bern Inselspital

PI: Tatiana Bremova-Ertl, MD, PhD

Kontakt: tatiana.bremova-ertl@insel.ch

UNITED KINGDOM (2 Standorte)

Das Königliche Papworth-Krankenhaus, Cambridge

Versuchsgelände für Patienten ab 16 Jahren

PI: Clare Bolton, MD

Kontakt: clare.bolton1@nhs.net

Universität von Nottingham

Versuchsgelände für Patienten im Alter von 4 bis 17 Jahren

PI: Manish Prasad, MD

Kontakt: Helen Navarra

E-Mail: helen.navarra@nhs.net

UNITED STATES (3 Standorte)

Massachusetts General Hospital - Boston MA

PI: Franziska Hoche, MD

E-Mail: FHOICHE@mg.harvard.edu

UT Health - Houston Texas

PI: Nivedita Thakur, MD

E-Mail: Nivedita.Thakur@uth.tmc.edu

Zusätzlicher Kontakt: William Guerra

E-Mail: William.H.Guerra@uth.tmc.edu

Universität von Kalifornien Los Angeles (UCLA) - Los Angeles CA

PI: Susan Perlman, MD

E-Mail: SPerlman@mednet.ucla.edu