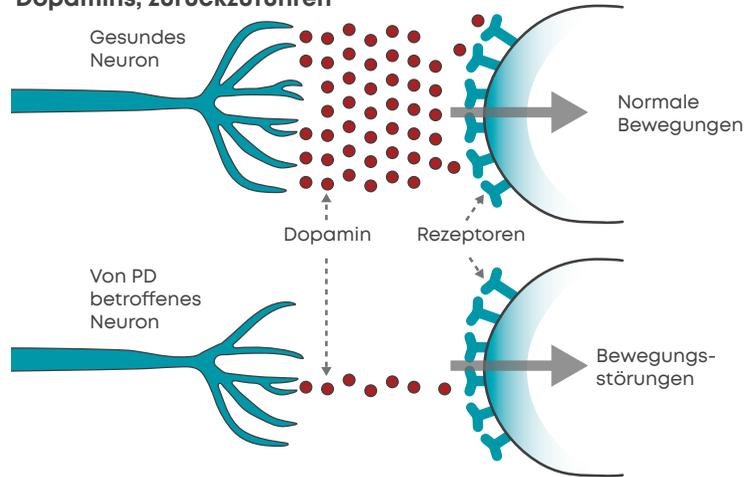


Parkinson-Krankheit

Die Parkinson-Krankheit ist die häufigste Bewegungsstörung und nach der Alzheimer-Krankheit die zweithäufigste Erkrankung des Gehirns. Zu den Symptomen gehören in der Regel Zittern in bestimmten Körperregionen, Muskelstarre, verlangsamte Bewegungen, Gleichgewichtsprobleme und Stürze.²

Die Bewegungssymptome bei PD sind auf einen verminderten Spiegel eines chemischen Stoffes im Gehirn, des sog. Dopamins, zurückzuführen



Behandlungen der PD

Es gibt derzeit keine Heilung für PD. Allerdings stehen Ärzten Behandlungen zur Verfügung, die bei der Linderung der Symptome helfen und in den frühen und mittleren Stadien der Krankheit von Nutzen sein können.

Zu den typischen Behandlungen gehören:

- Unterstützende Therapie (z. B. Physio-, Ergo- oder Sprachtherapie)
- Medikamente, die die Dopaminaktivität erhöhen (z. B. Levodopa)
- Gehirnchirurgie (z. B. tiefe Hirnstimulation)

Die Wirkung dieser Therapien kann mit der Zeit nachlassen. Dies liegt zum Teil daran, dass das Gehirn wichtige Faktoren verliert, die für eine gesunde Funktion der Dopaminzellen sorgen, so z. B. das GDNF (Glial Cell Line-Derived Neurotrophic Factor).

Sprechen Sie mit uns

Vielen Dank für Ihr Interesse an der REGENERATE-PD-Studie. Ihre Teilnahme an dieser Studie kann Wissenschaftlern und Ärzten dabei helfen, die Parkinson-Krankheit besser zu verstehen und die Behandlung zu verbessern. Ihre Teilnahme kann einen wichtigen Beitrag zum medizinischen Fortschritt leisten und sich positiv auf das Leben von Menschen auswirken, die von der Parkinson-Krankheit betroffen sind.

Wurde bei Ihnen die **Parkinson-Krankheit (PD)** diagnostiziert? Kennen oder pflegen Sie jemanden mit der Parkinson-Krankheit?

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an AskFirst@askbio.com oder lesen Sie den QR-Code unten ein.



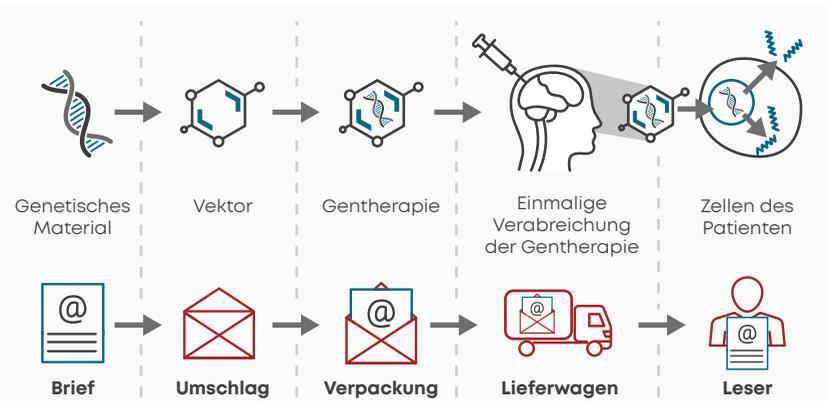
Bitte lesen Sie die Datenschutzhinweise von AskBio unter <https://www.askbio.com/privacy>
Version 1.0 freigegeben, Januar 2024.

Literaturverweise: 1. Denyer R, Douglas MR. Gene therapy for Parkinson's disease. *Parkinsons Dis.* 2012;2012:757305. 2. Mhyre TR, et al. Parkinson's disease. *Subcell Biochem.* 2012;65:389-455.

Sie oder ein Angehöriger von Ihnen könnten für die REGENERATE-PD Studie in Frage kommen, bei der eine Gentherapie zur Behandlung der Parkinson-Krankheit untersucht wird.



Was ist eine Gentherapie?



Die Gentherapie ermöglicht die Behandlung von Hirnerkrankungen.

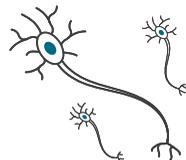
Dabei wird genetisches Material in die Gehirnzellen eines Patienten eingebracht, um die Ursachen einer Krankheit zu behandeln. Ziel der Gentherapie bei neurodegenerativen Erkrankungen ist es in der Regel, das Gehirn mit einem Selbstschutzmechanismus auszustatten, damit die Gehirnzellen besser mit den Belastungen umgehen können, die zu einer Funktionsstörung oder dem Absterben von Gehirnzellen führen. Die Gentherapie wurde bei vielen verschiedenen Krankheiten erprobt, darunter auch bei Krankheiten, für die keine genetische Ursache bekannt ist, wie die Parkinson-Krankheit (PD). **Es gibt verschiedene Möglichkeiten, wie die Gentherapie Menschen helfen kann. Dazu gehören:**

- **Einbringen einer aktiven Kopie eines Gens** in den Körper, um die Behandlung einer Krankheit zu unterstützen
- **Ausschalten eines schädlichen Gens**, das eine Krankheit verursacht
- **Ersetzen eines schädlichen Gens** durch eine gesunde Kopie des Gens



Die Gene müssen für die Einschleusung in den Körper entsprechend „verpackt“ werden, damit Sie die Zellen erreichen und ihre Wirkung entfalten können. Häufig werden für diesen Zweck Teile von Viren verwendet, sog. „Vektoren“, bei denen die Wahrscheinlichkeit, dass sie eine Infektion verursachen, sehr gering ist. AskBio verwendet für Gentherapien einen Vektor, der als adeno-assoziiertes Virus (AAV) bezeichnet wird.

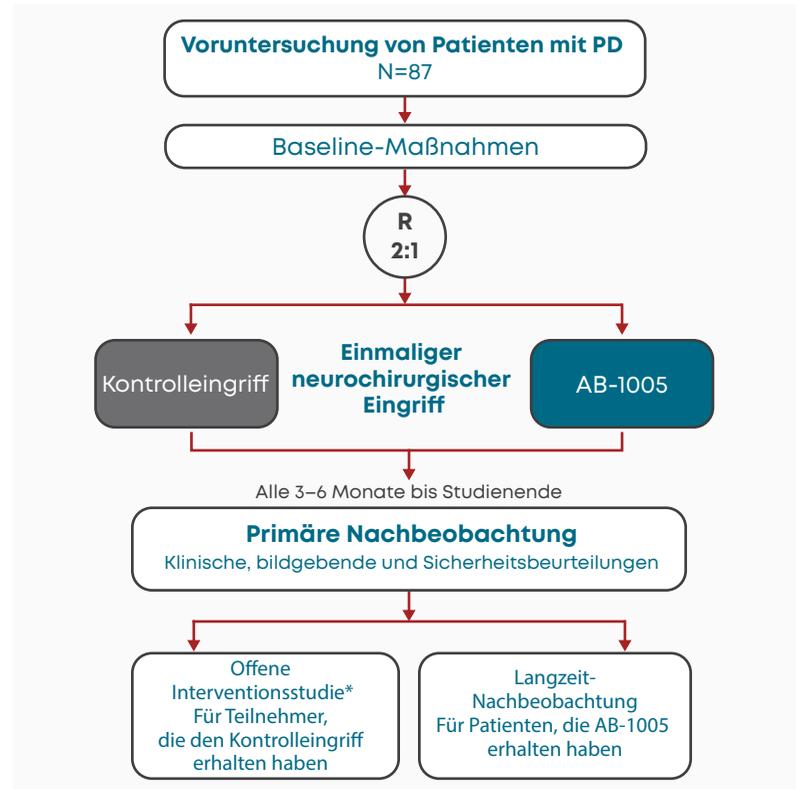
Die Gentherapie könnte es potenziell ermöglichen, die Funktion von Hirnzellen, die bei fortschreitender Krankheit verloren geht, zu erhalten oder wiederherzustellen.¹



Die REGENERATE-PD-Studie

Klinische Studien werden durchgeführt, um bessere Methoden zur Prävention, Diagnose oder Behandlung von Krankheiten zu finden. Diese Studien folgen sehr strengen Regelungen, die die Teilnehmer schützen und zuverlässige und genaue Ergebnisse gewährleisten sollen. Jede klinische Studie wird von einer sog. Ethikkommission (EK) überprüft, um sicherzustellen, dass die Rechte der Studienteilnehmer geschützt werden. Die freiwillige Teilnahme an einer klinischen Studie bedeutet, dass Sie Teil einer größeren Gemeinschaft werden, die einen Beitrag zur Verbesserung der Behandlungsmöglichkeiten leistet. Wenn Sie sich für die freiwillige Teilnahme an einer klinischen Studie entscheiden, können Sie Ihre Teilnahme an der Studie jederzeit beenden, ohne dass Ihre medizinische Versorgung dadurch beeinträchtigt wird.

Ziel der REGENERATE-PD-Studie ist es, zu untersuchen, ob eine neue Gentherapie (AB-1005) für Patienten mit PD sicher und wirksam ist. Diese Therapie zielt darauf ab, Ihrem Gehirn funktionierendes GDNF zuzuführen, das das Überleben der Gehirnzellen fördert. Um dies zu untersuchen, erhalten die Studienteilnehmer eine einmalige Behandlung und werden über einen Zeitraum von mindestens 18 Monaten nachbeobachtet. Die klinischen Beurteilungen, die speziell im Rahmen dieser Studie durchgeführt werden, erfolgen zusätzlich zu der regulären medizinischen Versorgung, die Sie von Ihren Ärzten und Gesundheitsdienstleistern erhalten.



PD: Parkinson-Krankheit, R: randomisiert.

*Die Teilnehmer müssen sich für die Teilnahme an der offenen Interventionsstudie erneut qualifizieren.

So funktioniert die Teilnahme an dieser Studie

Bevor Sie aufgenommen werden können, erhalten Sie ein Dokument, in dem die Studie und Ihre Rechte als Teilnehmer erläutert werden. Lesen Sie dieses Dokument aufmerksam durch, bevor Sie es zur Aufnahme unterschreiben. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, um herauszufinden, ob diese klinische Studie für Sie geeignet ist.

Sie könnten für eine Teilnahme an dieser Studie in Frage kommen, wenn Sie die folgenden Bedingungen erfüllen:

- Sie sind zwischen 45 und 75 Jahre alt.
- Bei Ihnen wurde in den letzten 4 bis 10 Jahren die Parkinson-Krankheit diagnostiziert.
- Die Dosierung Ihrer Parkinson-Medikamente war in den 4 Wochen vor der Voruntersuchung stabil (unverändert).
- Sie sprechen nachweislich auf Levodopa an.
- Sie hatten bisher noch keine Operation am Gehirn.

Sobald feststeht, dass Sie für eine Teilnahme an der Studie in Frage kommen, werden Sie mehreren medizinischen Untersuchungen unterzogen, um Ihre Eignung zu bestimmen. Dazu gehören ein Gesundheitscheck, eine neurologische Untersuchung, eine bildgebende Untersuchung des Gehirns und Blutuntersuchungen. Denken Sie daran, dass Sie die Studie jederzeit verlassen können, wenn Sie Ihre Meinung ändern.

Nach der Aufnahme werden Sie einer **minimal-invasiven Gehirnoperation** unterzogen. Darauf folgt ein 18-monatiger Zeitraum, in dem Sie alle 3–6 Monate das Prüfzentrum aufsuchen werden, um Ihren Fortschritt zu verfolgen. Bei diesen Besuchsterminen werden bei Ihnen körperliche und neurologische Untersuchungen sowie Blutuntersuchungen durchgeführt. Außerdem werden Sie gebeten, zu Hause Fragebögen über Ihren Gesundheitszustand und Ihre Lebensqualität auszufüllen.

Sobald alle Teilnehmer der REGENERATE-PD-Studie den Besuchstermin nach 18 Monaten absolviert haben, werden die Teilnehmer, die AB-1005 erhalten haben, im Rahmen der Langzeit-Nachbeobachtung weiter überwacht. Die Teilnehmer, die einem chirurgischen Kontrolleingriff unterzogen wurden, haben die Möglichkeit, AB-1005 im Rahmen der offenen Interventionsstudie zu erhalten, sofern die Ein- und Ausschlusskriterien eingehalten werden.