

Arbeitsgruppe Pädiatrische Endokrinologie und Diabetologie
(APEDÖ)

Bearbeiter/-in: Eva-Maria Wakolbinger
T +43 (0)5 7680 84 - 22001
Eva-Maria.Wakolbinger@kepleruniklinikum.at

Linz, 23.04.2020

RE: Burosumab Studie für Kinder mit Phosphatdiabetes vor dem 1. Geburtstag (BUR-CL207)

Studientitel: "Open-label, Multicenter, Uncontrolled Study to Evaluate Safety, Efficacy, Pharmacodynamics and Pharmacokinetics of Burosumab in Children from Birth to Less than 1 Year of Age with X-linked Hypophosphatemia" [<https://clinicaltrials.gov> (Studie NCT04188964)].

Liebe Kollegen,

COVID-bedingt hat sich diese Studie verzögert aber nun haben wir die Rekrutierungserlaubnis erhalten: Phosphatdiabetes (XLH) geht u.a. mit Kleinwuchs und Deformierung langer Röhrenknochen einher. Unbehandelt wird ein guter Teil der Endlänge der Patienten in den Phasen raschen Wachstums verloren, also vorallem im 1. Lebensjahr und während der Pubertät.

Burosumab für Kinder mit XLH ist erst ab dem 2. Lebensjahr zugelassen. Die obige Phase 1/2 Multicenter-Studie testet die Sicherheit und Wirksamkeit von Burosumab bei Säuglingen, mit Therapiebeginn vor 1. Geburtstag. XLH Patienten mit de-novo Mutationen präsentieren sich selten vor dem 1. Geburtstag; im Gegensatz dazu sind frühe Diagnosen bei familiären Fällen häufiger.

Die Univ. Klinik für Kinderheilkunde in Linz das einzige Studienzentrum in Österreich. Wenn Sie Patienten in dieser Altersgruppe neu mit XLH diagnostizieren, oder Schwangere betreuen die, oder deren Partner, selbst von XLH betroffen sind, dann wären wir Ihnen dankbar wenn Sie die Eltern auf die Möglichkeit der Studienteilnahme des Kindes aufmerksam machen könnten. Für Kontaktaufnahme durch die Eltern und für Rückfragen stehen wir jederzeit zur Verfügung.

Mit freundlichen Grüßen



Univ.-Prof. Dr. Wolfgang Högler