

Projekt finansowany przez Agencję Badań Medycznych, Polska,
nr proj. 2019/ABM/01/00026, całkowita wartość projektu i kwota dofinansowania wynosi 17 904 943,10 zł.



MeDMD

Ocena skuteczności stosowania metoprololu w zapobieganiu kardiomiopatii U PACJENTÓW Z DYSTROFIĄ MIĘŚNIOWĄ DUCHENNE'A

Cel badania:

Ocena skuteczności wczesnego włączenia leczenia lekiem z grupy beta-blokerów (metoprolol) u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a

Projekt realizowany w latach 2020-2026

Katedra i Klinika
Kardiologii Dziecięcej
i Wad Wrodzonych Serca
Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego

ul. M. Skłodowskiej-Curie 3a
80-210 Gdańsk

e-mail: medmd@gumed.edu.pl

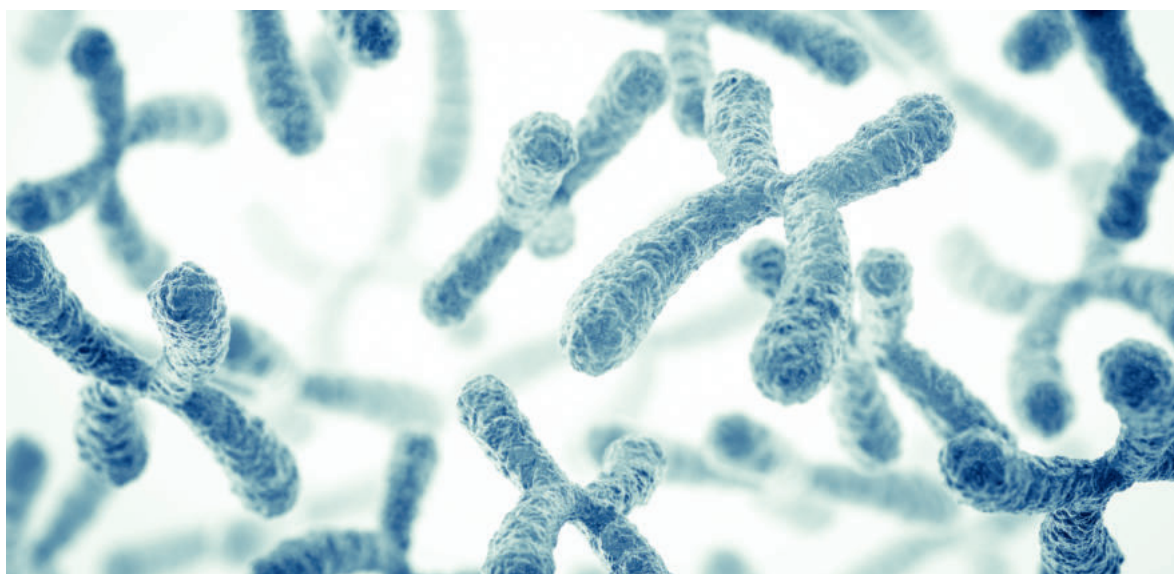
tel. 58 584 64 79

Skuteczność i bezpieczeństwo metoprololu jako leczenia uzupełniającego standardową terapię w zapobieganiu kardiomiopatii u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a

Metoprolol Safety and Efficacy in the Prevention of Cardiomyopathy in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)

Dystrofia mięśniowa Duchenne'a (DMD) jest chorobą dziedziczną w sposób recesywny sprzężony z płcią, a w jej przebiegu dochodzi do zajęcia mięśni szkieletowych, oddechowych i mięśnia sercowego. Ze względu na specyfikę zajęcia mięśnia sercowego w DMD opieka kardiologiczna nad pacjentami z DMD jest kluczowa dla poprawy rokowania i składa się z regularnej oceny uwzględniającej wywiad i badanie lekarskie oraz badania dodatkowe – EKG spoczynkowe, 24-godzinne monitorowanie metodą Holtera oraz ECHO serca.

Ze względu na możliwość uwidocznienia ognisk włóknienia (LGE) w rezonansie magnetycznym serca (CMR), większą powtarzalność i niezależność od dostępności okna akustycznego również to badanie zyskuje na znaczeniu. Tak kompleksowa opieka zgodna z najbardziej aktualną wiedzą medyczną od wielu lat realizowana jest w Uniwersyteckim Centrum Klinicznym w Gdańsku nad blisko 100 pacjentami z DMD. Według zaleceń Birnkrant i wsp. badania te należy wykonywać co roku.



Przebieg projektu:

W ramach proponowanego projektu planowane są przedstawione poniżej etapy, wraz z odpowiadającymi im interwencjami pozwalającym na monitorowanie stanu zdrowia chorego, działań niepożądanych leków, pozytywnych skutków terapii. **Planowana interwencja obejmuje włączenie jednego leku (metoprololu)** podawanego w jednej dawce dziennej dostosowanej do masy ciała pacjenta. Należy uwzględnić, iż dawka stosowanego leku będzie regularnie weryfikowana względem masy ciała pacjenta i w razie konieczności modyfikowana do względem aktualnych pomiarów.

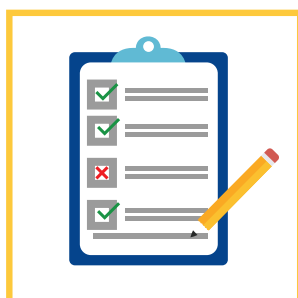
1. Kwalifikacja pacjentów do włączenia do projektu.
2. Procedura randomizacji.
3. Rozpoczęcie terapii lekiem lub placebo.
4. Analiza okresowa.
5. Zakończenie projektu.



Stan zdrowia pacjenta będzie monitorowany i raportowany podczas wizyt kontrolnych w **Uniwersyteckim Centrum Klinicznym w Gdańsku**, a także w domu, zgodnie z protokołem projektu. Dla opiekunów uczestników projektu zostanie zapewniona edukacja w zakresie używania leków, monitorowanie w domu pacjenta, raportowanie telemetryczne, postępowanie w przypadku wystąpienia działań niepożądanych.

Warunki udziału w projekcie:

1. Rodzice lub opiekunowie prawni uczestnika projektu oraz, w przypadku pacjentów, którzy ukończyli 13 lat również oni sami, wyrazili pisemną świadomą zgodę przed wykonaniem jakichkolwiek procedur związanych z badaniem.
2. Deklarowana gotowość do przestrzegania wszystkich procedur badawczych i dyspozycyjność na czas trwania projektu.
3. Chłopiec w wieku ≥ 8 lat i < 17 lat w momencie włączenia do badania (od ukończenia 8. roku życia do ostatniego dnia przed 17. urodzinami).
4. Zdolność przyjmowania tabletek i chęć przestrzegania schematu interwencji w badaniu.
5. U pacjenta potwierdzono rozpoznanie DMD.
6. Przyjmowanie leków z grupy ACEi lub ARB w minimalnych wymaganych dawkach przez co najmniej 30 dni przed włączeniem do badania.



Kryteria wykluczenia z udziału:

1. Obecne lub poprzednie stałe stosowanie jakichkolwiek leków z grupy beta-blokerów.
2. Udział w innym badaniu klinicznym nad nowymi terapiami w DMD.
3. Klinicznie istotna bradykardia w spoczynku lub w monitorowaniu EKG metodą Holtera, na podstawie wartości prawidłowych skorygowanych względem wieku i płci, blok przedsionkowo-komorowy wyższy niż pierwszego stopnia w spoczynku lub drugiego stopnia Wenckebacha w nocy, przerwy dłuższe niż 2,5 sek.
4. Obecność rozrusznika serca lub ICD.
5. Jawna niewydolność krążenia.
6. Frakcja wyrzutowa lewej komory (LVEF) $< 57\%$ (ocena za pomocą echokardiografii metodą Teichholtza).

7. Brak możliwości uzyskania odpowiedniej jakości obrazów echokardiograficznych (konieczne do monitorowania pierwszorzędnego punktu końcowego i bezpieczeństwa).

8. Znane reakcje alergiczne na składniki badanego produktu leczniczego (Investigational Medicinal Product – IMP).

Jeżeli pacjent spełnia wszystkie kryteria włączenia oprócz przyjmowania leków grupy ACEi lub ARB, prosimy Państwa o kontakt z naszym ośrodkiem. Na podstawie przeprowadzonej rozmowy telefonicznej zostanie Państwu przedstawiona dalsza strategia postępowania.

Zachęcamy do wypełnienia formularza zgłoszenia do projektu, nawet jeśli macie Państwo wątpliwości. Nasi lekarze skontaktują się z Państwem po wstępnej analizie informacji i przedstawią możliwości udziału pacjenta w projekcie.

Informacje o projekcie

Pełny tytuł: Skuteczność i bezpieczeństwo metoprololu jako leczenia uzupełniającego standardową terapię w zapobieganiu kardiomiopatii u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a w wieku 8-16 lat. Badanie randomizowane, podwójnie zaślepienie, z placebo w grupie kontrolnej.

Całkowity czas trwania: maksymalny czas trwania projektu to 60 miesięcy

Zasięg: pacjenci z całej Polski

Odbiorcy: grupa pacjentów (ok. 140 osób), w wieku 8-16 lat z genetycznie potwierdzoną DMD

Miejsce i sposób realizacji: scentralizowany model opieki (badania będą wykonywane w Uniwersyteckim Centrum Klinicznym w Gdańsku, ul. Dębinki 7, 80-952 Gdańsk)

- W ramach projektu w sposób cykliczny będą wykonywane badania diagnostyczne, mające na celu ocenę stanu pacjenta i postępu choroby. W razie wystąpienia działań niepożądanych, pacjentom zostaną zapewnione dodatkowe wizyty kontrolne w Uniwersyteckim Centrum Klinicznym w Gdańsku.
- W takim schemacie projekt realizowany będzie aż do 30 miesięcy, obliczonego od momentu włączenia pierwszego pacjenta. W połowie trwania projektu zostanie wykonana pierwsza analiza skuteczności leku.
- Efektem tej oceny może być objęcie leczeniem metoprololem wszystkich pacjentów uczestniczących w projekcie. Taka realizacja projektu może mieć znaczący wpływ na aktualizację kolejnych wytycznych opieki nad pacjentami z DMD.

Korzyści dla Pacjenta wynikające z udziału w badaniu:

- dostęp do specjalistycznej opieki medycznej w ośrodku doświadczonym w opiece nad pacjentami z DMD
- regularne konsultacje eksperckie (badania kliniczne odbywają się pod stałym nadzorem ekspertów z Katedry i Kliniki Kardiologii Dziecięcej i Wad Wrodzonych Serca Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego)
- dostęp do specjalistycznych konsultacji lekarskich i badań takich jak:
 - echokardiografia przezklatkowa
 - elektrokardiografia
 - 24-godzinne monitorowanie EKG metodą Holtera
 - 24-godzinny ambulatoryjny pomiar ciśnienia tętniczego (ABPM)
 - spirometria
 - badania laboratoryjne
 - rezonans magnetyczny serca
- pacjenci biorący udział w projekcie otrzymają ciśnieniomierz, pikfometr oraz dostęp do platformy internetowej celem domowego monitorowania stanu zdrowia i samopoczucia pacjenta
- pacjenci dotknięci chorobą uczestnicząc w projekcie mogą zmienić jakość swojego życia
- wsparcie finansowe na pokrycie części/całości kosztów dojazdu i noclegu
- aktywny udział w rozwoju nauki i medycyny w Polsce.



Organizatorzy

Projekt „Skuteczność i bezpieczeństwo metoprololu jako leczenia uzupełniającego standardową terapię w zapobieganiu kardiomiopatii u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a” realizowany będzie przez zespół naukowców pod kierownictwem dr hab. Joanny Kwiatkowskiej, kierownik Katedry i Kliniki Kardiologii Dziecięcej i Wad Wrodzonych Serca Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego.

Gdański Uniwersytet Medyczny (GUMed) to nowoczesny ośrodek akademicki, rozpoznawalny w kraju i na świecie. Uczelnię charakteryzuje wysoki potencjał naukowy i rozwojowy, na który składają się w szczególności: doświadczone i renomowane zespoły badawcze, rosnąca liczba prestiżowych międzynarodowych publikacji i grantów, jak również szeroki zakres i jakość prowadzonych badań potwierdzone wysoką kategoryzacją jednostek. GUMed jest też jedynym uniwersytetem medycznym wybranym do elitarnego grona 10 najlepszych polskich uczelni wyróżnionych w prestiżowym konkursie Inicjatywa Doskonałości – Uczelnia Badawcza.

Projekt będzie realizowany na bazie infrastruktury **Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego** – jednego z największych i najnowocześniejszych szpitali w Polsce. UCK dysponuje odpowiednim potencjałem osobowym i technicznym, zapewniając dostęp do innowacyjnych metod leczenia i sprzętu medycznego na najwyższym światowym poziomie.

**Katedra i Klinika Kardiologii Dziecięcej i Wad Wrodzonych Serca
Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego**
ul. M. Skłodowskiej-Curie 3a, 80-210 Gdańsk
tel. 58 584 64 79, e-mail: medmd@gumed.edu.pl
www.medmd.gumed.edu.pl





www.medmd.gumed.edu.pl

**KATEDRA I KLINIKA
KARDIOLOGII DZIECIĘCEJ I WAD WRODZONYCH SERCA
GDAŃSKI UNIWERSYTET MEDYCZNY**

ul. M. Skłodowskiej-Curie 3a, 80-210 Gdańsk
tel. 58 584 64 79, e-mail: medmd@gumed.edu.pl

