

N	Patienten, Erkrankung	Alter	Wirkstoff	Darreichungsform	Studientitel	Studienphase	Studiendauer	Sponsor	Weblinks für weitere Informationen
6	Jugendliche und Erwachsene mit spät-einsetzendem OTC-Mangel	Ab 12 Jahren	DTX301 (avalotcagene ontaparvovec)	Infusion	Eine randomisierte, doppelblinde, placebo-kontrollierte Phase-III-Studie zum Gentransfer von menschlicher Ornithin-Transcarbamylase (OTC) durch Adeno-assoziierte Viren des Serotyps 8 (AAV8) bei Patienten mit spät-einsetzendem OTC-Mangel.	III	324 Wochen plus 5 Jahre Nachbeobachtung	Ultragenyx Pharmaceutical	<ul style="list-style-type: none"> ▪ EudraCT Nummer 2020-003384-25 ▪ Patientenflyer
5	Kinder und Jugendliche mit chronischer Nierenerkrankung und Eiweißverlust	6 Monate bis 18 Jahre	Finerenon	Tablette bzw. orale Suspension	Eine 6-monatige multizentrische, randomisierte, doppelblinde, placebo-kontrollierte Studie zur Bewertung der Wirksamkeit, Sicherheit und PK/PD eines alters- und körperrgewichtsangepassten oralen Finerenon-Schemas zusätzlich zu einem ACEI oder ARB zur Behandlung von Kindern in einem Alter von 6 Monaten bis 18 Jahren mit chronischer Nierenerkrankung und Proteinurie.	III	Ca. 1 Jahr	Bayer AG	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Bayer Webseite ▪ EudraCT Nummer 2021-002071-19
4	Kinder mit primärer Hyperoxalurie mit relativ normaler Nierenfunktion	0 -11 Jahre	DCR-PHXC (Nedosiran)	Subkutane Injektion	Eine offene, multizentrische Phase-II-Studie zur Bewertung der Wirksamkeit, Sicherheit und Pharmakokinetik von Nedosiran bei pädiatrischen Patienten im Alter von Geburt bis 11 Jahren mit primärer Hyperoxalurie und relativ intakter Nierenfunktion (PHYOX8"-Studie)	II	Ca. 7 Monate	Dicerna Pharmaceuticals Inc.	<ul style="list-style-type: none"> ▪ EudraCT Nummer 2021-001083-16
3	Kinder und Jugendliche mit primärer Hyperoxalurie	Ab 6 Jahren	DCR-PHXC (Nedosiran)	Subkutane Injektion	Eine offene Roll-Over-Studie zur Bewertung der langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit von DCR-PHXC-Lösung zur Injektion (subkutane Anwendung) bei Patienten mit primärer Hyperoxalurie (PHYOX3"-Studie)	III	Min. 3 Jahre	Dicerna Pharmaceuticals Inc.	<ul style="list-style-type: none"> ▪ EudraCT Nummer 2018-003099-10

N	Patienten, Erkrankung	Alter	Wirkstoff	Darreichungsform	Studientitel	Studienphase	Studien-dauer	Sponsor	Weblinks für weitere Informationen
2	Kinder und Erwachsene mit PIK3CA-assoziiertem Überwuchsspektrum (PROS)	≥ 6 Jahre	BYL719	Tablette	EPIK-P2: Eine doppelblinde Phase-II-Studie mit einem vorgelagerten randomisierten und Placebo-kontrollierten Studienabschnitt über 16 Wochen zur Untersuchung der Wirksamkeit, Sicherheit und Pharmakokinetik von Alpelisib (BYL719) bei pädiatrischen und erwachsenen Patienten mit dem PIK3CA-assoziierten Überwuchsspektrum (PIK3CA-related overgrowth spectrum, PROS).	II	Max. 60 Monate	Novartis Pharma AG	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Überwuchssyndrom (PROS) Studie Novartis ▪ EudraCT Nummer 2020-000561-16
1	Kinder mit pulmonal-arterieller Hypertonie	2 bis 18 Jahre	Selexipag	Tablette	SALTO: Eine randomisierte, multizentrische, doppelblinde, Placebo-kontrollierte, ereignis-gesteuerte, gruppensequentielle Parallelgruppen-studie mit offener Verlängerungsphase zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Selexipag als Zusatzbehandlung zur Standard-therapie bei Kindern im Alter von ≥2 bis <18 Jahren mit pulmonaler arterieller Hypertonie.	III	Individuell, bis max. 96 Monate	Janssen Cilag, GmbH	<ul style="list-style-type: none"> ▪ https://saltostudy.com/DE/about-SALTO-study.html ▪ EudraCT Nummer 2019-002817-21