

N	Patienten, Erkrankung	Alter	Wirkstoff	Darreichungsform	Studientitel	Studienphase	Studiendauer	Sponsor	Weblinks für weitere Informationen
5	Kinder und Jugendliche mit klassischer kongenitaler Nebennierenhyperplasie	6 bis 17 Jahre	Crinecerfont	Kapseln bzw. orale Lösung	Eine randomisierte, doppelblinde, placebo-kontrollierte Studie zur Bewertung der Sicherheit und Wirksamkeit von Crinecerfont (NBI-74788) bei pädiatrischen Patienten mit klassischer kongenitaler Nebennierenhyperplasie, gefolgt von einer offenen Behandlung.	III	Ca. 60 Wochen	Neurocrine Biosciences, Inc.	<ul style="list-style-type: none"> EudraCT Nummer 2020-004381-19
4	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 körperrgewichtsanpassenden 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
3	Kinder, Jugendliche und Erwachsene mit Phenylketonurie	Ab Geburt	PTC923	Pulver, in Beutel	Eine Phase-3-Studie mit PTC923 bei Patienten mit Phenylketonurie.	III	Ca. 2 Jahre	PTC Therapeutics	<ul style="list-style-type: none"> EudraCT Nummer 2021-000474-29
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

N	Patienten, Erkrankung	Alter	Wirkstoff	Darreichungsform	Studientitel	Studienphase	Studiendauer	Sponsor	Weblinks für weitere Informationen
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	Individuelle, 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