

N	Patienten, Erkrankung	Alter	Wirkstoff	Darreichungsform	Studientitel	Studienphase	Studien-dauer	Sponsor	Weblinks für weitere Informationen
5	Kinder und Jugendliche mit chronischer Nierenerkrankung und Eiweißverlust	1 bis 18 Jahre	Sparsentan	Orale Suspension	Unverblindete, einarmige Kohortenstudie der Phase II zur Beurteilung der Sicherheit, der Wirksamkeit und der Pharmakokinetik der Sparsentan-Behandlung bei pädiatrischen Patienten mit ausgewählten proteinurischen glomerulären Erkrankungen (EPPIK).	II	112 Wochen	Travere Therapeutics	<ul style="list-style-type: none"> EudraCT Nummer 2021-000621-27
4	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 Patientenflier
3	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 körpereingewichtsangepassten 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
2	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

N	Patienten, Erkrankung	Alter	Wirkstoff	Darreichungsform	Studientitel	Studienphase	Studiendauer	Sponsor	Weblinks für weitere Informationen
1	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