

Abstract/Vortrag/Poster*

Der Vortrag zum Thema **“A randomized, double-blind, placebo-controlled study of arimoclomol in patients with inclusion body myositis”** wurde auf der GCOM von **Mazen Dimachkie** präsentiert. Das Team um **Pedro M. Machado¹, Richard J. Barohn², Michael McDermott³, Thomas Blaettler⁴, Thomas Lloyd⁵, Aziz Shaibani⁶, Miriam Freimer⁷, Anthony Amato⁸, Emma Ciafaloni³, Sarah Jones⁹, Tahseen Mozaffar¹⁰, Summer Gibson¹¹, Matthew Wicklund¹², Todd Levine¹³, Claus Sundgreen⁴, Tim Dehli Carstensen⁴, Karen K. Bonefeld⁴, Anders N. Jørgensen⁴, Karina Phonekeo⁴, Andrew J. Heim¹⁴, Laura Herbelin¹⁴, Michael G. Hanna¹ und Mazen M. Dimachkie¹⁴** stellte die Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit/Verträglichkeit dieser internationalen, randomisierten doppelblinden, placebo-kontrollierten Phase-2/3-Studie mit Arimoclomol bei Patienten mit Einschlusskörpermyositis vor.

Die Einschlusskörpermyositis (IBM) ist die häufigste idiopathische entzündliche Myopathie, die bei Patienten über 45 Jahren auftritt. Da sich eine Immunsuppression als nicht wirksam erwiesen hat, stellt die Modulation der zytoprotektiven (zellschützend) "Hitzeschockreaktion" (HSR) einen möglichen therapeutischen Ansatz dar, der sowohl auf die Entzündung als auch auf die Degeneration abzielt. In einer Pilotstudie erwies sich Arimoclomol, ein Verstärker der HSR, als sicher und gut verträglich, wobei einige Tendenzen auf eine Wirksamkeit nach 8 Monaten bei Patienten mit IBM hindeuteten.

Die 152 Probanden erfüllten die ENMC-Kriterien und erhielten über 20 Monate nach dem Zufallsprinzip (1:1) entweder Arimoclomolcitrat oder entsprechende Placebokapseln. Der primäre Endpunkt war die Veränderung des Gesamtergebnisses auf der IBM Functional Rating Scale (IBMFRS) vom Ausgangswert bis zum Monat 20. Zu den hierarchisch geordneten sekundären Endpunkten gehörten die Handgriffstärke (stärkste Hand), die modifizierte Aufsteh- und Gehzeit, der manuelle Muskeltest (24 Muskeln), die 6-Minuten-Gehtestdistanz und die Short-Form-36-Gesundheitsfragebogen. Zu den weiteren Ergebnismessungen gehörten der Gesamteindruck der Patienten und der Kliniker sowie andere Messungen der Muskelkraft und -funktion. Der IBMFRS-Wert sank unter Arimoclomol um durchschnittlich 3,25 Punkte im Vergleich zu 2,26 Punkten unter Placebo über 20 Monate. Die sekundären Wirksamkeitsmessungen ergaben keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen den Behandlungsgruppen. Diese Studie zeigte keinen Nutzen von Arimoclomol bei IBM in Bezug auf die primären und sekundären Wirksamkeitsendpunkte.

*Bei dem folgenden Text handelt es sich um eine Zusammenfassung der Abstract-Publikation die im Abstract-Band zur GCOM 2022 (Global Conference on Myositis) erschienen ist und als Vortrag auf der Conference vorgestellt wurde.

1University College London, London, UK

2University of Missouri, Columbia, MO

3University of Rochester, Rochester, NY

4Orphazyme A/S, Copenhagen, Denmark

5Johns Hopkins University, Baltimore, MD

6Nerve & Muscle Center of Texas, Houston, TX

7The Ohio State University, Columbus, OH

8Brigham & Women's Hospital, Boston, MA

9University of Virginia, Charlottesville, VA

10University of California, Irvine, Orange, CA

11University of Utah, Salt Lake City, UT

12University of Colorado - Denver, Denver, CO

13HonorHealth, Phoenix, AZ

14University of Kansas Medical Center, Kansas City, KS