

http://n.neurology.org/content/90/15_Supplement/P3.436

(Übersetzung mit Programm „Google-Übersetzer“)

Open-Label-Studie von Ranolazin zur Behandlung von Paramyotonia Congenita (P3.436)

Ziel:

Beurteilung der Wirkung von Ranolazin bei Patienten mit Paramyotonia congenita

Hintergrund:

Paramyotonia congenita (PC) ist eine nicht-dystrophische myotone Störung, die durch Mutationen im SCN4A-Gen verursacht wird. Muskelsteifheit im Zusammenhang mit Muskelübererregbarkeit und daraus resultierende Myotonie ist die häufigste Beschwerde bei PC-Patienten. Es gibt derzeit keine FDA-zugelassenen Behandlungen für diese Störung. Frühere Studien haben gezeigt, dass Mexiletin die Symptomlast der Muskelübererregbarkeit und die daraus resultierende Myotonie wirksam reduzieren kann, aber einige Patienten reagieren nicht auf Mexiletin oder sind nicht intolerant. Unsere kürzlich durchgeführte klinische Studie legte nahe, dass Ranolazin bei Myotonie congenita wirksam ist und eine alternative Behandlung für Myotonie sein kann. Da es nur In-vitro-Studien gibt, die die Wirkung von Ranolazin bei PC untersuchen, führten wir eine offene Studie mit Ranolazin bei PC-Patienten durch.

Design / Methoden:

Zehn Patienten wurden aufgenommen und zu Beginn, 2, 4 und 5 Wochen bewertet. Ranolazin wurde nach der Basisuntersuchung (500 mg zweimal täglich) begonnen, nach der zweiten Woche (1000 mg zweimal täglich) erhöht und bis Woche 4 beibehalten.

Ergebnisse:

Die auf einer 9-Punkte-Skala gemessenen subjektiven Symptome von Steifheit, Schmerz und Schwäche waren in Woche 4 im Vergleich zum Ausgangswert signifikant verbessert ($p = 0,0001$, $p = 0,0001$ und $p = 0,0008$). Die Zeit bis zum Öffnen der Augen, die Augenlidöffnungszeit und die Handöffnungszeiten verbesserten sich alle signifikant in Woche 4 im Vergleich zum Ausgangswert ($p = 0,0001$, $p = 0,0010$ bzw. $p = 0,0009$). Die Dauer der elektrischen Myotonie zeigte eine Reduktion des Tibialis anterior in Woche 4 im Vergleich zum Ausgangswert (66% Reduktion, $p = 0,0023$), während die Dauer der elektrischen Myotonie im Abductor digit minimi in Woche 4 um 60% abnahm, aber nicht signifikant war ($p = 0,0760$). Kein Teilnehmer hat Ranolazin aufgrund von Nebenwirkungen abgesetzt.

Schlussfolgerungen:

Diese Studie liefert die ersten klinischen Nachweise, dass Ranolazin gut verträglich und wirksam für die Behandlung von PC ist, und sollte in einer größeren kontrollierten Studie untersucht werden.

Veröffentlichung durch:

[Wolters Kluwer Health, Inc. on behalf of the American Academy of Neurology](#)