

שלב 3

מגייס

ESSENCE (SRP-4045/SRP-4053)

Sarepta Therapeutics

מתקיים ב: ארצות הברית, אירופה, קנדה, ישראל (בי"ח שניידר)

מהות הטיפול

התרופה פועלת בדומה לאקסונדיס 51 – מאפשרת היווצרות של חלבון דיסטרופין מקוצר ע"י דילוג על אקסון 45 (srp-4045) או על אקסון 53 (srp-4053). הטיפול ניתן באינפוזיה תוך ורידית פעם בשבוע.

מוטציות חסר אפשריות המתאימות לדילוג על אקסון 45 (אך אינן מוגבלות ל): 12-44, 18-44, 44, 46-47, 46-48, 46-49, 46-51, 46-53, 46-55.

מוטציות חסר אפשריות המתאימות לדילוג על אקסון 53 (אך אינן מוגבלות ל): 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52, 54-58.

מהי מטרת המחקר?

המחקר מיועד לבדוק את יעילות הטיפול במינון של 30 מג/ק"ג בחולי דושן המתאימים לטיפול מבחינה גנטית, בהשוואה לקבוצת פלסבו (יחס 1:2).

תיאור המחקר

במחקר משתתפים בנים אמבולטוריים בגילאי 7 עד 13 שנים הנוטלים סטרואידים באופן קבוע במשך 6 חודשים לפחות, ללא בעיות בתפקודי לב וריאות. המטופלים צריכים להיות מתאימים מבחינה גנטית לדילוג על אקסון 45 או 53.

משתתפי המחקר מחולקים באופן אקראי ל-3 קבוצות: מטופלים המתאימים לטיפול ע"י srp-4045, מטופלים המתאימים לטיפול ע"י srp-4053 וקבוצת פלסבו ביחס של 2:1 בהתאם לכל דילוג.



הטיפול מלווה במעקב במשך שנתיים עם אפשרות הארכה עד 4 שנים סה"כ. השפעת הטיפולים נמדדת ע"י בדיקות תפקוד וביצועי שרירים, בדיקות תפקודי הלב והריאות, בדיקות דם וביופסיית שריר.

היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע נוסף באתר <https://essencetrial.com> וכן ניתן להתעדכן על המחקר באתר

www.ClinicalTrials.gov (NCT02500381)

