

שלב 3

מגייס

Edasalonexent (CAT-1004)

Catabasis Pharmaceuticals

מתקיים ב: ארצות הברית, קנדה, אירופה (בריטניה, גרמניה, שוודיה), אוסטרליה, ישראל

מהות הטיפול

התרופה Edasalonexent אמורה לעכב התפתחות דלקתית בתאי השריר. החומר הפעיל הינו מולקולה קטנה המעכבת את קומפלקס NFκB, המעורב בהפעלת תהליכים דלקתיים, הרס תאי השריר ועיכוב התחדשות תאית. ממחקרים פרה-קליניים במודלים של עכברים וכלבים עם מחלת דושן, נמצא כי כתוצאה מעיכוב קומפלקס NFκB ע"י 'Edasalonexent', חל גם עיכוב בהידרדרות המחלה.

מה הן תוצאות המחקר עד כה?

בשלב 2 של המחקר (MoveDMD) התרופה גרמה להאטה מובהקת בהתקדמות המחלה מול קבוצת הביקורת. במחקר השתתפו 31 מטופלים בגילאי 4 עד 7 שנים, שקיבלו ב- 12 שבועות הראשונים אחד מ-2 המינונים השונים של התרופה או טיפול פלסבו. לאור העדר תופעות לוואי, כל המשתתפים עברו למינון המקסימלי של התרופה במסגרת המשך המחקר (Open-label extension).

מבחינת תפקוד של North Star ומבחינים אחרים הקשורים במדידת זמנים שנערכו בזמן המחקר, מראים כי מינון של 100 מ"ג/ק"ג מהתרופה מאט בצורה משמעותית את התדרדרות המחלה. עוד נמצא, כי במדידה שנערכה באמצעות MRI ו-CRP, חלה ירידה בדלקתיות השרירים ובמקביל, לא נצפו עליה במשקל או שינויי גדילה אחרים השונים מקבוצת הביקורת.

סיכום התוצאות בכתב עת Neurology ניתן לראות [באן](#)



מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא לבחון את יעילות המינון של 100 מ"ג/ק"ג' הניתן במשך 12 חודשים מול קבוצת פלסבו (יחס 1:2).

מי יכול להשתתף במחקר?

בתכנות לגייס למחקר 125 בנים אמבולטוריים, מאובחנים עם דושן בגילאי 4 עד 7 שנים ללא שימוש בסטרואידים לפחות 6 חודשים טרם המחקר.

בישראל ניתן להיכנס למחקר עד גיל 5 שנים. מעבר לגיל 5 שנים השתתפות מותנית בהצהרת ההורים על כך שהם מסרבים לתת סטרואידים לילד (המהווים את הסטנדרט הטיפולי היום) ולא יתנו טיפול סטרואידי בעתיד ללא קשר למחקר.

תיאור המחקר

הטיפול (או פלסבו) יינתנו במשך 12 חודשים עם תקופת הארכה של 12 חודשים נוספים בתווית פתוחה.

כל 3 חודשים יבדקו תפקודים פיזיקליים, מצב קרדיולוגי, גדילה ובריאות העצם.

במהלך תווית פתוחה הביקורים יהיו כל חצי שנה. אחים של המטופלים, בני 4 עד 10, שלא השתתפו במחקר אך עומדים בקריטריונים, יוכלו גם לקבל את הטיפול באדסולונקסנט.

היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע נוסף באתר <http://www.catabasis.com> ולהתעדכן באתר

[http://www.clinicaltrials.gov\(NCT03703882\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT03703882))

