

שלב 3

לפני גיוס

Edasalonexent (CAT-1004)

Catabasis Pharmaceuticals

מתקיים ב: ארצות הברית, קנדה, אירופה, אוסטרליה

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.



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.

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.

היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

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

