

שלב 3

לא מגייס

For DMD

University of Rochester (With foundation from NANS, PPMD, MDA)

מתקיים ב: ארצות הברית, קנדה, אירופה (איטליה, בריטניה, גרמניה)

מהות המחקר

במחקר זה ייבחנו היתרונות ותופעות הלוואי של משטרי טיפולי הסטרואידים הנפוצים ביותר בדושן. סוג הסטרואידים הניתן בדרך כלל בדושן מכונה קורטיקוסטרואידים. מדובר בתרופה הדומה במבנה שלה להורמונים הטבעיים הנוצרים ביותרת הכליה, המפחיתים דלקות ומדכאים תגובה חיסונית. עיקר השימוש נעשה בסטרואידים מסוג פרדניזון. יחד עם זאת, ישנן ארצות וישראל ביניהן, בהן משתמשים גם בסטרואידים מסוג דפלאזקורט (Deflazacort). השימוש בסטרואידים בדושן הינו חלק מהסטנדרט הטיפולי בשל האפקטיביות שלהם במניעת תהליכים דלקתיים בקרב רוב חולי הדושן. היתרונות כוללים הארכת משך תקופת ההליכה, הפחתה בהופעת עקמת של עמוד השדרה, שיפור במדדי תפקוד הנשימה וכן הגנה על תפקוד בעיות לב. עם זאת, עד כה לא נאסף מידע קליני רציף אודות סוג הטיפול ואופן ההתוויה בסטרואידים אשר מביא את מרב התועלת יחד עם תופעות הלוואי המינימליות.

מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר נעשית השוואה בין שלוש קבוצות טיפול ומשתתפים בו 196 ילדים מאובחנים עם דושן בגילאי 4 עד 7 שנים.



תיאור המחקר

משטרי הסטרואידיים שנבדקים :

- פרדניזון יומיומי
- דפלאזאקורט יומיומי
- פרדניזון לסירוגין (10 ימים עם/10 ימים בלי)

כל שלושת המשטרים הנ"ל הינם הכי נפוצים בקרב המטופלים ובמחקר For DMD נבדקת השפעת המינונים השונים על ביצועים תפקודיים, תפקודי ריאות ושביעות רצון מהטיפול. המטופלים נבדקים כל 3 חודשים במשך 5 שנים. המחקר עתיד להסתיים במחצית השנייה של 2019.

היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע נוסף באתר www.for-dmd.org או להתעדכן כאן:

[www.clinicaltrials.gov\(NCT01603407\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT01603407))



