

שלב 1/2a

לא מגייס

GALGT2

Nationwide Children's Hospital. K.Flanigan

מתקיים ב: ארצות הברית

מהות הטיפול

ביטוי מוגבר של הגן GALGT2 עשוי לפצות על היעדר החלבון דיסטרופין. באמצעות AAV (וירוס), יועבר החומר של הגן לתוך תאי השריר. תוצאות ניסוי בחיות הראו כי ביטוי מוגבר של הגן GALGT2 גורם לייצוב קרום התא ע"י סינתזת חלבונים חילופיים כגון יוטרופין. הטיפול ניתן ע"י עירוי חד פעמי לעורקי הירכיים.

מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא להוכיח את בטיחות הטיפול ולבדוק את יעילותו. במהלך המחקר נבדקים שני מינונים של התרופה.

מי יכול להשתתף במחקר?

המחקר מתכוון לגייס 6 משתתפים אמבולטוריים (3 בכל מינון) בגילאי 4 שנים ומעלה, עם משטר קבוע של סטרואידים.

תיאור המחקר

בטיחות הטיפול תיבדק ע"י בדיקות דם, סרום, תגובות של מערכת החיסון ותופעות לוואי. יעילות התרופה תימדד באמצעות מבחני תפקוד וביופסיות שריר. המחקר נערך בתווית פתוחה ומלווה במעקב במשך שנתיים.



היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע נוסף באתר ([www.clinicaltrials.gov\(NCT03333590](http://www.clinicaltrials.gov(NCT03333590))

