

שלב 2  
לא מגייס

NS-065/NCNP-01  
NS Pharma

מתקיים ב: ארצות הברית

### מהות הטיפול

התרופה פועלת בשיטה דומה לזו של אקסונדיס 51 ומאפשרת היווצרות של חלבון דיסטרופין מקוצר, ע"י דילוג על אקסון 53. הטיפול ניתן באינפוזיה תוך ורידית פעם בשבוע.

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?

מטרת המחקר היא להעריך בטיחות, סבילות ויעילות עבור שני מינונים של התרופה: נמוך - 40 מג/ק"ג וגבוה - 80 מג/ק"ג. בנוסף, המחקר בודק את השפעת התרופה על התפקוד, החוזק והמבנה המולקולרי של השרירים.

### מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר יכולים להשתתף בנים אמבולטוריים המתאימים מבחינה גנטית לדילוג על אקסון 53, בגילאי 4 עד 10 שנים הנוטלים סטרואידים 3 חודשים לפחות לפני קבלת הטיפול.

### תיאור המחקר

בכל מינון משתתפים 8 מטופלים: 2 מתוכם מקבלים פלסבו במשך ארבעת השבועות הראשונים. החל מהשבוע החמישי, כל המשתתפים יקבלו את התרופה למשך 20 שבועות נוספים. המחקר הבודק את המינון הגבוה יחל רק לאחר הוכחת הבטיחות של המינון הנמוך.



במהלך המחקר יבוצעו בדיקות מעקב תפקודיות, בדיקות מעבדה, בדיקות תפקודי לב וביופסיית שריר.

### **היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?**

ניתן לקבל מידע נוסף באתר <http://www.nspharma.com/pipeline/clinical-trials.php> וכן

ניתן להתעדכן על המחקר באתר [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov) (NCT02740972)

