

שלב 1

מגייס

PF-060939926 (mini-dystrophin)

Pfizer

מתקיים ב: ארצות הברית

מהות הטיפול

הכנסת חומר גני המקודד לדיסטרופין מקוצר (mini-dystrophin) בתוך AAV (וירוס) ע"י עירוי חד פעמי.

מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא לבדוק את הבטיחות ויעילות של התרופה PF-06939926. החומר הגנטי הנמצא בתוך AAV (וירוס) מחדיר לתוך תאי השריר את הגן המבטא גרסה מקוצרת של חלבון הדיסטרופין ומכיל מספר מינימלי של אזורים הנדרשים לפעילות החלבון.

מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר יכולים להשתתף בנים המאובחנים עם דושן, בגילאי 5 עד 12 שנים, אמבולטוריים המקבלים טיפול קבוע בסטרואידים.

תיאור המחקר

המחקר הינו בתווית פתוחה הבוחן שני מינוים של התרופה. הטיפול ניתן פעם אחת בהזרקה לתוך הוריד ומלווה במעקב במשך 5 שנים.

היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע נוסף באתר www.pfizer.com וכן ניתן להתעדכן על המחקר באתר [www.clinicaltrials.gov\(NCT03362502\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT03362502))

