

שלב 1
מגייס

PPMO for Exon 51 – SRP-5051 Sarepta Therapeutics

מתקיים ב: ארצות הברית

מדובר בנוסחה משופרת של התרופה אקסונדיס51: החומר הפעיל הגורם לדילוג על האקסון 51, מחובר למקטע חלבוני המגביר את חדירות החומר אל תוך תאי השריר.

תיאור המחקר

המחקר הקליני נערך בתווית פתוחה בארצות הברית ומטרתו להעריך את הבטיחות, היעילות, הסבילות ופרמקוקינטיקה (PK) של 5 מינונים שונים של srp 5051. אחד מ-5 המינונים של התרופה יינתן רק פעם אחד בעירו לתוך הוריד. המטרה לבחון את הטיפול במשך 3 חודשים. לאחר סיום התקופה ניתן להמשיך לקבל את התרופה במסגרת מחקר המשך.

תנאי התאמה למחקר:

- התאמה מבחינה גנטית לטיפול בדילוג על אקסון 51
- בגילאי 12 שנים ומעלה
- נטילת סטרואידים במשך 3 חודשים לפני תחילת הטיפול או ללא נטילת סטרואידים 3 חודשים לפני הטיפול.
- העדר שימוש בטיפולים גנטיים (כמו אקסונדיס51) במשך 6 חודשים לפני תחילת המחקר
- תפקודי ריאות ולב יציבים

מידע נוסף על המחקר ניתן ב- www.ClinicalTrials.gov (NCT03375255)

