

שלב 1

לא מגייס

**Rimeporid**  
EspeRare Foundation

מתקיים ב: איטליה, בריטניה, ספרד, צרפת

### מהות הטיפול

החומר הנחקר Rimeporid אמור להאט את הרס תאי השריר ע"י ויסות רמת יוני הסידן בתא. החומר מעכב את הקולטן NHE-1, המעורב בתהליך חדירת יוני סידן לתוך תאי השריר. מניעת הצפת יתר של יוני סידן לתוך התא מונעת תהליכים המובילים להרס של התא.

בניסויים פרה-קליניים התרופה הראתה נתונים מבטיחים לגבי תפקודי שרירים, הפחתת פיברוזיס ודלקתיות בשרירי השלד, הלב והדיאפרגמה. בחיות mdx ואוגרים נצפתה ירידה בתמותה, בקרדיומיופטיות ובכמות הפיברוזיס.

התרופה ניתנת בצורת כמוסות 3 פעמים ביום.

### מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא להעריך בטיחות וסבילות. במחקר נבחנים השפעתם של 4 מינונים של התרופה.

### מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר משתתפים 20 מטופלים אמבולטוריים המאובחנים עם דושן, בגילאי 6 עד 14 שנים, עם משטר קבוע של סטרואידים.



## תיאור המחקר

המשתתפים מחולקים ל-4 זרועות, כאשר בכל זרוע יש 5 משתתפים. קבוצת המשתתפים בכל זרוע מקבלת מינון מוגדר במשך 4 שבועות. החלטה להעלות למינון גבוהה יותר מתקבלת רק לאחר קבלת תוצאות חיוביות של בדיקות הבטיחות מהמינון הקודם לו. המחקר נערך בתווית פתוחה במהלכו נבדקים תפקודים פיזיקליים של המטופלים, תפקודי לב ופרמטרים שונים במחזור הדם, הפלסמה והשתן. בנוסף, המטופלים יעברו 2 סקירות MRI. באמצעות הסקירות החוקרים רוצים לפתח סממנים ביולוגיים לא פולשניים חדשים (noninvasive biomarkers) לצורך מעקב יותר יעיל על התקדמות המחקר.

## היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע באתר [www.esperare.org](http://www.esperare.org) וכן ניתן להתעדכן על המחקר באתר [www.clinicaltrials.gov\(NCT02710591\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT02710591))



