

שלב 1/2

מגייס

SGT-001

Solid Biosciences

מתקיים ב: ארצות הברית

### מהות הטיפול

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

### מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא לבדוק את הבטיחות והיעילות של הטיפול בחומר SGT-001.

### מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר יכולים להשתתף בנים בגילאי 4 עד 17 שנים ללא קשר למצב אמבולטורי וללא שינוי משטר הנטילה של סטרואידים במשך שישה חודשים לפחות.

### תיאור המחקר

משתתפי המחקר מחולקים באופן אקראי ל-4 קבוצות: 3 קבוצת המקבלות מינונים שונים של התרופה וקבוצת פלסבו. הטיפול ניתן פעם אחת בהזרקה לתוך הוריד ומלווה במעקב במשך שנתיים. מטופלים מקבוצת פלסבו יקבלו טיפול לאחר שנה של מעקב במינון היעיל ביותר מבין שלושתם.

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

ניתן לקבל מידע נוסף באתר <https://www.solidbio.com> וכן ניתן להתעדכן על המחקר באתר

[www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov) (NCT03368742)

