

שלב 3

מגייס

CATENA / Raxone (SIDEROS)

Santhera Pharmaceuticals

מתקיים ב: ארצות הברית, אוסטרליה, אירופה (איטליה, בולגריה, בריטניה, פולין), ישראל (בי"ח שניידר), קנדה, יפן.

מהות הטיפול

החומר הפעיל של התרופה Catena/Raxone נקרא אדבנון ומטרתו לחזק את תאי השריר של חולי ניוון שרירים דושן.

אדבנון משמש להגדלת תפוקת האנרגיה של המיטוכונדריה בתא (איבר התאי האחראי ליצור האנרגיה). בנוסף, בשל להיותו חומר נוגד חמצון רב עצמה, הוא עשוי להאט את התפתחות התהליכים הדלקתיים בשרירים. התרופה ניתנת באמצעות קפסולות 3 פעמים ביום.

מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא להעריך את היעילות והבטיחות של התרופה Raxone בשימור על תפקודי הריאות, בחולי דושן המקבלים סטרואידים, מול קבוצת פלסבו (יחס 1:1).

מי יכול להשתתף במחקר?

למחקר מגייסים 226 משתתפים העומדים בתנאים הבאים:

- בגילאי 10 שנים ומעלה,
- עם משטר קבוע של סטרואידים
- תפקודי ריאות ירודים (ערכי FVC בין 30% ל-80%)
- עם חיסון נגד זיהומים פנאומוקוקיים (pneumococcal polysaccharide)
- ללא ניתוח עקמת בחצי שנה האחרונה.



תיאור המחקר

המטופלים יחולקו באופן אקראי ל-2 קבוצות: אלו שמקבלים את התרופה ואלו שמקבלים פלסבו (יחס 1:1). המחקר נערך במשך 18 חודשים ובמהלכו נבדקים תפקודים פיזיקליים של המטופלים, תפקודי ריאות ופרמטרים שונים במחזור הדם. סה"כ 10 ביקורי מעקב באתר המחקר. המשתתפים מקבלים החזרים על כל הוצאות התעבורה אל אתר המחקר. כל המטופלים שישלימו את הביקור האחרון יוכלו להמשיך לקבל את התרופה במסגרת המחקר הארכה או עד לקבלת אישור שיווק של Idebenone עבור DMD.

מה הן תוצאות המחקר הקודם?

תוצאות המחקר (שלב 3) DELOS, בו נבדקו מטופלים שלא נטלו סטרואידים, פורסמו בחודש אפריל 2015 בכתב העת The Lancet Buyse et al (2015; 385: 57-1748). תוצאות המחקר הראו כי טיפול ב-Catena® / Raxone® מפחית באופן משמעותי את הירידה בתפקוד הריאות בחולים שנטלו את התרופה, לעומת קבוצת הביקורת. תוצאות חיוביות אלו גם אוששו ותמכו בפרמטרים נוספים כגון נפח נשימה מקסימאלי (FVC) וכן את קצב זרימת האוויר הננשף בשנייה הראשונה (1FEV). יתר על כן נראה כי הטיפול הוא בטוח וללא תופעות לוואי מיוחדות.

היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

ניתן לקבל מידע נוסף באתר Siderosdmd.com וכן ניתן להתעדכן על המחקר באתר [www.clinicaltrials.gov\(NCT02814019\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT02814019))

