

שלב 1  
לפני גיוס

WVE-210201  
WAVE Life Science

מתקיים ב: ארצות הברית

### מהות הטיפול

התרופה מאפשרת היווצרות של חלבון דיסטרופין מקוצר ע"י דילוג על אקסון 51. ייחודיות התרופה הינה בסידור המרחבי של החומר הפעיל הזהה בין רוב המולקולות ומתאים בצורה מיטבית להיקשר לאקסון 51.

מוטציות חסר אפשריות המתאימות לדילוג על אקסון 51 (אך אינן מוגבלות ל) הן: 40-50, 41-50, 42-50, 43-50, 45-5, 47-50, 48-50, 49-50, 50, 52, 52-58, 52-61.

### מהי מטרת המחקר?

מטרת המחקר היא להעריך את הבטיחות ואת אופן פעילות התרופה WVE-210201, הניתנת כסדרה של ריכוזים עולים בהדרגה, למטופלים המתאימים מבחינה גנטית לדילוג על אקסון 51.

### באיזה שלב נמצא מחקר זה?

המחקר נמצא לפני תחילת שלב 1 ואינו מגייס עדין מטופלים.

### מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר יכולים להשתתף בנים אמבולטוריים ולא אמבולטוריים המתאימים מבחינה גנטית לדילוג על אקסון 51, בגילאי 6 עד 18 שנים, הנוטלים סטרואידים לפחות חודש לפני תחילת הטיפול.



## תיאור המחקר

החברה מתכננת לגייס 40 משתתפים על מנת לבדוק את הבטיחות והשפעת המינונים השונים, מול קבוצת פלסבו (יחס 1:3). לאחר סיום השלב הראשון, המחקר ימשיך בתווית פתוחה עם מתן התרופה לכל המשתתפים במשך שנתיים. המחקר מלווה בבדיקות מעקב וביופסיית שריר.

## היכן ניתן לקבל מידע נוסף על מחקר זה?

מידע נוסף ניתן לקבל באתר [www.wavelifesciences.com](http://www.wavelifesciences.com)

