

שלב 1/2

מגייס

rAAVrh74.MHCK7.micro-dystrophin  
Nationwide Children's Hospital

מתקיים ב: ארצות הברית

### מהות הטיפול

הכנסת החומר הגני המקודד לדיסטרופין מקוצר, ע"י עירווי חד פעמי של החומר בתוך AAV (וירוס).

### מהי מטרת המחקר?

מטרת מחקר זה היא להעריך את הבטיחות והיעילות של הטיפול הגני של rAAVrh74.MHCK7.micro-dystrophin הניתן ל-12 ילדים מאובחנים בדושן.

### מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר יכולים להשתתף בנים מאובחנים בדושן בגילאי 3 חודשים עד גיל 7 שנים, עם מוטציות גנטיות בין האקסונים 18-58 ומספר נמוך של נוגדנים בדם לווירוסים – rAAVrh74 ו-AVV8.

### תיאור המחקר

המחקר בוחן מינון אחד של התרופה בשתי קבוצות גיל שונות: קבוצה אחת של גילאי 3 חודשים עד 3 שנים וקבוצה שניה של גילאי 4 עד 7 שנים. הטיפול ניתן פעם אחת בהזרקה לתוך הוריד ומלווה במעקב במשך שנתיים.

הילדים בקבוצה הצעירה נוטלים סטרואידים לפני הזרקה הטיפול ומפסיקים ליטול בהדרגה לאחר קבלתו. הילדים מהקבוצה הבוגרת יותר שהיו על משטר הסטרואידים שנה לפני המחקר, ממשיכים ליטול סטרואידים במשך כל המחקר.

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

ניתן לקבל מידע נוסף באתר [www.clinicaltrials.gov\(NCT03375164\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT03375164))

