

סטטוס מחקר: קליני

## Tamoxifen - ישראל

שימוש בטמוקסיפן לשיפור חוזק השריר בדושן.

### באיזה שלב נמצא המחקר?

מחקר זה הינו בשלב המעבר מהשלב הפרה-קליני לשלב הקליני. קיים מידע מספק ממחקרים קודמים להתחיל מחקר קליני בבני אדם. טמוקסיפן הינה תרופה גנרית המשמשת לטיפול בסרטן השד.

### היכן נערך מחקר זה ומי ממנ אותו?

המחקר ייערך בישראל במקביל לאתרים נוספים באירופה. המחקר הפרה קליני נערך באוניברסיטת ג'נבה בשווייץ, בשימוש בעכברי מודל mdx .

### מהי מטרת מחקר זה?

לבדוק האם טמוקסיפן יכול להיות חלק מ"קוקטייל" ביחד עם טיפולים אחרים המאטים או מפסיקים את אבדן החוזק בדושן או בבקר. יכול להיות שטמוקסיפן יוכל לתפוס את מקומו של פרדניזון כחלופה עם פחות תופעות לוואי או שמנות קטנות יותר של פרדניזון ישמשו בשילוב עם טמוקסיפן.

### מה היו תוצאות המחקר הפרה-קליני?

- נבדקו מנות שונות של טמוקסיפן על עכברים בוגרים וזקנים. יתרונות הטיפול כללו רמות נמוכות יותר של קריאטינין קינאז (CPK), 40% פחות פיברוזיס של הלב (צילוק) מאשר בעכברים שלא טופלו, ושיפור המגיע כמעט למצב תקין בחוזק השריר. למרות שעכברים אינם בני אדם ואף פעם לא לחלוטין בטוח כיצד יבואו תוצאות אלה לידי ביטוי אצלם, תגובה משמעותית בטיפול בעכברים נטולי דיסטרופין הוא תקן הזהב להכנסת תרופות לניסויים קליניים לדושן.
- באוניברסיטת לונדון הראו לאחרונה כי שילוב של טמוקסיפן בנוסף על פרדניזון נותן השפעה מעט חזקה יותר מאשר טמוקסיפן לבד.
- יש לציין כי הפרופיל הפרמקולוגי של טמוקסיפן ידוע היטב; הוא ניתן גם כתרופה נוגדת גידול סרטני לילדים ולא נרשמו השפעות בלתי רצויות כתוצאה מכך.



### היכן יתבצע הניסוי הקליני?

המחקר צפוי להיערך בישראל. אם יתקבל מענק הוא יערך במקביל בשוויץ, צרפת, גרמניה, אוסטריה ותורכיה.

### כמה זמן צפוי להיערך המחקר וכמה פעמים עליי לבקר במרכז הניסוי?

המחקר ייערך כשנה, בנוסף הארכה לשנתיים נוספות. במשך השנה הראשונה יהיה צורך להגיע פעם ב-3 חודשים למעקב, ובתקופת ההארכה פעם בחצי שנה.

### מי יתאים להשתתף בניסוי הקליני?

ילדים ונערים חולי דושן, בגילאים 5-16 ושמקבלים טיפול סטנדרטי בגלוקוקורטיקואידים. השיפור הנראה בעכברים עם טמוקסיפן ככל הנראה לא תלוי בסוג מסוים של מוטציה בגן הדיסטרופין, לכן טמוקסיפן בעל פוטנציאל לטיפול בכל חולי דושן ובקר.

### היכן ניתן לקבל פרטים נוספים על מחקר זה?

- [www.ClinicalTrials.gov](http://www.ClinicalTrials.gov) – אתר שבו מופיעים כל הניסויים הקליניים בשלב שבו מגייסים מטופלים באופן פעיל.
- אנא עיין באתר [www.DuchenneConnect.org](http://www.DuchenneConnect.org) לקבלת עדכונים לגיליון שאלות נפוצות זה.

