

שלב 2

מגייס

**MNK-1411 (BRAVE)**  
Mallinckrodt Pharmaceuticals

מתקיים ב: ארצות הברית, מקסיקו, ספרד, ישראל

### מהות הטיפול

ההורמון cosytropin שהנו : ACTH DEOPT ההורמון המופרש מבלטות יותרת המוח הפועל על בלוטת יותרת הכליה להפרשת סטרואידים טבעיים בפריפריה .  
מתן חומר זה הנו למעשה חיקוי של התהליך הפיזיולוגי הטבע.  
להורמון זה השפה משולשת :

1. הפעלת הציר בלוטת יותרת המוח- יותרת הכליה לשם הפרשת סטרואידים.
2. השפעה ישירה על השריר ע"י הפעלת קולטנים להורמון זה הנמצאים על גבי מעטפת תאי השריר

3. השפעה אנטי אימונית כלומר אנטי דלקתית

מטרה הנה להעצים את ההשפעה האנטי דלקתית בשלושה מנגנונים שונים, בניגוד לסטרואידים הקלסיים בכך להאט עוד יותר את התהליך הדלקתי במחלת DMD.  
מדובר בשחרור אטי של החומר הפעיל בתרופה שרמתה נשמרת בדם מספר ימים ולכן היא תינתן רק פעמיים בשבוע.

המתן הנו בהזרקות תת- עוריות ע"י מחטים דקיקות. בנוסף, ניתן למרוח תכשיר מאלחש מקומי קודם להזרקה, בכך למנוע גם את הכאב המזערי.

בניסויים פרה קליניים שנערכו, נמצא כי MNK-1411 גרם לירידה בדלקתיות השרירים ולשיפור באיכות ההליכה של עכברי mdx.

### תופעות לוואי:

תרופה המוכרת במשך עשרות שנים בעולם. שיעילותה ובטיחותה נבדקו ב-45 ארצות . התרופה מוכרת כיום בתחום הנירולוגיה במתן תוך שרירי לתינוקות עם אפילפסיה חמורה: להבדיל מטיפול זה, במחקר יינתנו מינונים שהנם פי 10 נמוכים מאשר המינונים המקובלים האפילפסיה. לכן סביר להניח שתופעות הלוואי תהינה לאין שיעור נמוכות יותר.



### מהי מטרת המחקר?

מטרתו של המחקר היא לבחון את הבטיחות והיעילות הטיפול מול טיפול פלסבו (יחס 1:2).

### מי יכול להשתתף במחקר?

תכנית המחקר היא לגייס 132 משתתפים אמבולטוריים, מאובחנים עם דושן, בגילאי 4 עד 8 שנים, ללא שימוש קודם בסטרואידים.

### תיאור המחקר

במהלך המחקר תבחן ההשפעה של 2 מינונים של התרופה. המינון הגבוה הינו שווה ערך ל- 0.75 מ"ג/ק"ג/יום של פרדניזון והמינון הנמוך מהווה 50% מהמינון הגבוה. הטיפול או פלסבו יינתנו במשך 6 חודשים עם תקופת הארכה של 6 חודשים נוספים בתווית פתוחה. התרופה ניתנת כתרופה לזריקה פעם בשבועיים. בכל 4 שבועות יבדקו תפקודים פיזיקליים, קצב גדילה, חוזק השרירים ותפקודי ריאות.

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

ניתן לקבל מידע נוסף באתר [www.clinicaltrials.gov\(NCT03400852\)](http://www.clinicaltrials.gov(NCT03400852)) המחקר BRAVE ולהתעדכן באתר

