

## ALT1102

### Antisense Therapeutics

#### שלב 2. הושלם

#### תקציר-

התרופה מיועדת להורדת דלקת. זהו מחקר בתווית פתוחה עם קבוצת מחקר אחת שתקבל את התרופה. המשתתפים- בני 10-18, ללא יכולת אמבולטורית, יכולים להיות עם או ללא טיפול בסטרואידים. התרופה תינתן בהזרקה תת עורית, פעם בשבוע. משך המחקר 24 שבועות. המדד העיקרי יהיה בטיחות-מעקב אחרי תופעות לוואי. כמו כן, יערכו בדיקות מעבדה לתפקודי כבד וקרישה.

#### מהות הטיפול

ATL1102 הינו antisense oligonucleotide המיועד לעכב ביטוי של CD49d בתאי T המעורבים בתהליכי הדלקת במחלת הדושן וע"י כך להוריד את רמת הדלקת הנוצרת בעקבות החסר בדיסטרופין.

#### שם המחקר

A phase 2 open label, study to determine the safety, efficacy and pharmacokinetic profile of weekly dosing of ATL1102 in patient with non-ambulatory Duchenne Muscular Dystrophy

מטרת המחקר להעריך את הבטיחות והיעילות של ATL1102 במטופלים עם דושן.

התקיים ב: אוסטרליה

#### תיאור המחקר

מחקר שלב 2, בתווית פתוחה בעל קבוצת מחקר אחת. הנבדקים יקבלו את התרופה ATL1102 במינון של 25 מ"ג בהזרקה תת עורית פעם בשבוע למשך של 24 שבועות. ההיענות ללקיחת התרופה תוערך ע"י רישום ביומן מעקב ואיסוף חזרה של בקבוקי התרופה.

#### מדדי התוצאה

מדד עיקרי- בטיחות וסבילות: יבוצע מעקב אחרי תופעות לוואי. כמו כן, יערכו בדיקות מעבדה לתפקודי כבד וקרישה. הערכות אלו יבוצעו אחת לשבוע- שבועיים וכן לאחר סיום מתן התרופה, בשבוע 28 ו-32. מדדים משניים להערכת היעילות יכללו-

- הערכת רמות לימפוציטים
- תפקודי גפה עליונה במבחן PUL ו- Moviplate assessment. כוח שרירים באחיזת גריפ (כף יד) ופינצ' (אצבעות). מדדים אלו יילקחו בשבועות 5,8,12 ו-24.
- תפקודי נשימה- (% predicted vital capacity (FVC), % predicted peak expiratory flow (PEF)
- איכות חיים
- מדדים פרמוקנטיים של התרופה



### משתתפים במחקר

במחקר השתתפו 9 נבדקים עם אבחנה של דושן, בני 10-18 שנים, ללא יכולת אמבולטורית לפחות 3 חודשים. הנבדקים היו תחת טיפול סטרואידים לפחות 3 חודשים טרם התחלת המחקר או ללא טיפול. בעלי משקל גוף של 25-65 ק"ג.

### תוצאות

#### בטיחות-

- לא היו תופעות לוואי חמורות SAE
- אף נבדק לא הפסיק את השתתפותו במחקר
- רב תופעות הלוואי האחרות היו קלות וכללו אירועים סביב אזור ההזרקה כמו נפיחות ואדמומיות, ב 2 נבדקים היו תופעות לוואי בדרגת חומרה בינונית וב-3 חמורה.

#### יעילות-

- נצפתה ירידה ברמות הלימפוציטים כולל תאי T בשבוע 24 (מתן מינון אחרון). יש לציין כי בשבוע 28, בהעדר הטיפול, הופיעה עלייה ניכרת חזרה ברמות אלו.
- בבדיקות כוח השרירים והתפקוד הושג שיפור או האטה במידת הירידה לעומת הצפוי מתוך הספרות
- ציון PUL עלה ב-7 מתוך 9 נבדקים
- ב MRI נראתה התייצבות ברקמת השומן ורקמת השריר לעומת הצפוי. תוצאה זו הייתה גם כן בקורלציה לשיפור/ האטה בירידה בכוח השריר.
- תפקודי נשימה- שיפור קל ב PEF והאטה בירידה ב FVC.
- בשאלון איכות החיים ראו שיפור בכל המדדים כאשר השאלון מולא ע"י המתבגרים עצמם. בשאלונים שמולאו ע"י ההורים היה שיפור בחלקים של תפקוד יומיומי ובטיפול וירידה בציון בתחומי התקשורת ורמת הדאגה.

למידע אודות המחקר [באתר חברת Antisense](#)

[למידע מפורט](#) אודות המחקר באתר אוסטרלי של מחקרים קליניים

[לצפייה בהרצאה על המחקר מתוך כנס 2020](#)

