

ASP0367 (MA-0211)

Astellas Pharma

שלב 1. מגייס

A Study to Assess the Safety, Tolerability and Preliminary Efficacy of ASP0367 (MA-0211) in Pediatric Male Participants With Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)

תקציר-

התרופה מיועדת לשימור אנרגיה תאית זהו מחקר שיהיה בחציו רנדומלי סמוי עם השוואה לקבוצת ביקורת ובחציו בתווית פתוחה. המשתתפים- בני 8-16 שאינם חייבים להיות בעלי יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע. התרופה תינתן דרך הפה. משך המחקר 32 שבועות המדדים העיקריים שיוערכו יהיו קשורים לבטיחות כולל תופעות לוואי שונות.

A Randomized, Double Blind, Placebo-Controlled Phase 1b Study With Open-Label Extension to Assess the Safety, Tolerability and Preliminary Efficacy of ASP0367 (MA-0211) in Pediatric Male Patients With Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)		שם המחקר	
ארה"ב		מתקיים ב	
שימור אנרגיה תאית		אסטרטגיית טיפול	
מחקרים בתאים הומניים וחיות הראו כי A0367 שיפרו את תפקוד המיטוכונדריה, חילוף חומרים אנרגטי, תפקוד שרירי ורגנרציה. כיוון שמנגנונים אלו פגועים בחולי דושן A0367 יכול להיות בעלת אפקט טיפולי לחולים ללא קשר למוטציה הספציפית שלהם.		מהות הטיפול	
להעריך את הבטיחות והסבילות של ASP037 (MA-0211) בחולי דושן.		מטרת המחקר	
בנים	מגדר	אוכלוסיית המחקר	
8-16	גיל		
כן, שימוש במינון קבוע של סטרואידים לפחות 6 חודשים לפני הכניסה למחקר	טיפול בסטרואידים		



אינו מחייב	יכולת אמבולטורית	
18	מספר משוער של משתתפים	
1. אבחנה גנטית וממצאים קליניים לדושן 2. שימוש באמצעי מניעה להריון בנבדקים רלוונטיים (סימן טנר 2 ומעלה) 3. שימוש במינון קבוע של סטרואידים לפחות 6 חודשים לפני הכניסה למחקר 4. אם מקבלים טיפול קרדיאלי חייב להיות במינון קבוע לפחות 3 חודשים טרם הכניסה למחקר 5. אינו מסוגל להשלים את בדיקת ההליכה/ ריצה ל 10 מטר בפחות מ 10 שניות 6. ציון במבחן PUL חלק A בזמן הכניסה למחקר של 4,5 או 6 7. מסכימים לא להשתתף במחקר אחר במקביל 8. ללא סיכון גבוה לחשיפה ליורס הקורונה ו/או SARS של הנבדק ומשפחתו הקרובה כולל במסגרת העבודה או אחרת ע"פ שיקול דעתו של החוקר	הכללה	קריטריוני ם להכללה ואי הכללה
1. מחלה אקוטית 4 שבועות טרם הכניסה למחקר 2. תפוקת לב ejection fraction > 55% בבדיקת אקו לב 3. QT interval < 450 מילישניות בבדיקת א.ק.ג. 4. cardiac troponin I (cTnl) מעל הנורמה 5. שימוש בתרופות או תוספים מיטוכונדרליים כמו coenzyme Q10, metformin, idebenone, carnitine, peroxisome proliferator-activated receptors (PPAR) ligands או שימוש ב fibrates, thiazolidinediones and 4 שבועות לפני הכניסה למחקר 6. רגישות ל ASP0367 או אחד ממרכיביה 7. ליקויים בתפקודי כליות ע"פ רמות Cystatin C בסרום 8. תפקודי כבד לקויים 9. תוצאה חיובית להפטטיס B, C או HIV 10. הפרעה נפשית משמעותית כמו דכאון חמור, סכיזופרניה, הפרעה דו קוטבית. 11. היסטוריה של התנהגות או ניסיונות אובדניים או מחשבות אובדניות בשנה האחרונה (קריטריונים 4 או 5 ב Columbia Suicide Severity Rating Scale ((C-SSRS)) או התרשמות בסקרינינג לסיכון לניסיון אובדני 12. בעיות התנהגותיות או קוגניטיביות חמורות המונעות את השתתפתו של הנבדק במחקר 13. מצב כלשהו הגורם לנבדק להיות לא מתאים למחקר 14. שימוש כרגע או בטווח של חודשים קודמים בטיפו/ תרופה מחקרית כלשהי	אי הכללה	



<p>15. המטופל קיבל טיפול ב'דילוג' על אקסון (exon-skipping therapy) כולל Exondys 51</p> <p>16. הנבדק או הוריו אינם יכולים לעמוד בפרוטוקול המחקר, ביקורי המחקר ו/או לקיחת התרופה</p> <p>17. נבדקים שהיו חיובים או הראו סימפטומים של וירוס הקורונה</p>		
מחקר שיהיה בחציו רנדומלי סמוי מול קבוצת ביקורת פלצבו ובחציו בתווית פתוחה	סוג המחקר	תיאור המחקר
קבוצת המחקר תקבל את תרופת המחקר קבוצת הביקורת- ב-12 שבועות ראשונים תקבל פלצבו, לאחר מכן בחלק ההמשך בתווית פתוחה תקבל את תרופת המחקר למשך 12 שבועות.	קבוצות המחקר	
דרך מתן התרופה	דרך מתן התרופה	
מהלך המחקר- המחקר יכלול: <ul style="list-style-type: none"> • 4 שבועות סקרינינג • 24 שבועות של טיפול – מתוכם יהיו 12 שבועות בסמיות כפולה ו-12 שבועות בתווית פתוחה. בכל חלק יהיו שבועיים בהם המיכון יהיה נמוך ו-10 שבועות במיכון גבוה. • 4 שבועות מעקב לאחר טיפול 	משך המחקר	
<p>1. מספר המשתתפים שיחוו תופעת לוואי בטווח של 14 שבועות מקבלת מינון אחרון</p> <p>2. מספר המשתתפים שיחוו אבנורמליות בסימנים חיוניים ו/או תופעת לוואי AEs</p> <p>3. מספר המשתתפים עם שינוי חריג במשקל גוף ו/או תופעת לוואי AEs</p> <p>4. מספר המשתתפים עם תוצאה אבנורמלית בבדיקת ECG</p> <p>5. מספר המשתתפים עם בדיקת אקו לב לא תקינה ו/או תופעת לוואי AEs</p> <p>6. מספר המשתתפים עם בדיקות מעבדה אבנורמליות ו/או תופעת לוואי AEs</p> <p>7. מספר המשתתפים עם מחשבות אובדניות ו/או שינוי בציון בהערכות Columbia-Suicide Severity Rating Scale (C-SSRS)</p> <ul style="list-style-type: none"> • יוערכו עד שבוע 28 <p>8. שינוי בשבוע 24 בציון מבחן digit span test</p>	מדדי תוצאה עיקרים	מדדי התוצאה
<p>1. ערכי פרמוקינטיקה של ASP0367 בפלזמה בשבוע 2</p> <p>2. ערכי פרמודינאמיקה של ASP0367 בשבוע 4 ושבוע 12</p> <p>3. השינוי בציון Performance of Upper Limb Module (PUL) בשבוע 12</p> <p>4. השינוי בשאלון איכות חיים בשבוע 12</p> <p>5. השינוי במרחק הליכה ל-2 דקות בשבוע 12, בנבדקים אמבולטוריים</p>	מדדים משניים	



<p>6. אחוז השינוי במבחן (a6MCT) assisted 6 minute cycling test, מבחן תת מירבי לסבולת. ייבדק רק בסבוב של ידיים.</p> <p>שינוי בחלק יחסי של רקמת שומן ע"פ MRI בשבוע 12 ו-24</p>		
--	--	--

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

[לצפייה בהרצאה מתוך כנס 2020](#)

