

CANAKINUMAB (ILARIS®)

Children's Research Institute

שלב 1/2. מגייס

Single Escalating Dose Pilot Trial of Canakinumab (ILARIS®) in Duchenne Muscular Dystrophy

תקציר-

התרופה מיועדת להורדת דלקת. זהו מחקר בתווית פתוחה בשני מינונים. המשתתפים- בנים בני 2-6, בעלי יכולת אמבולטורית, ללא טיפול בסטרואידים. התרופה תינתן בהזרקה תת עורית חד פעמית. משך המחקר 30 ימים. המדדים העיקריים יהיו הערכה קלינית, בדיקות מעבדה ומעקב אחר תופעות לוואי

A Single Escalating Dose Pilot Trial of Canakinumab (ILARIS®) Assessing Safety and Biomarker Changes in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy		שם המחקר	
ארה"ב		מתקיים ב	
הורדת דלקת		אסטרטגיית טיפול	
Canakinumab הינו נוגדן ל interleukin 1 beta (IL1b) המהווה מרכיב פעיל בתגובה של מערכת החיסון ותהליכי דלקת. מטרת השימוש בתרופה זו בחולים עם דושן הינה להוריד את רמות הדלקת. השימוש בנוגדן זה מאושר לטיפול בילדים עם מחלות אחרות כגון קדחת ים תיכונית משפחתית (Familial Mediterranean fever) ודלקת מפרקים כרונית של הילדות (Juvenile idiopathic arthritis).		מהות הטיפול	
לבדוק את בטיחות התרופה canakinumab ואת פוטנציאל היעילות שלה בטווח הקצר בחולים צעירים עם דושן		מטרת המחקר	
בנים	מגדר	אוכלוסיית המחקר	
2-6	גיל		
ללא	טיפול בסטרואידים		



יכולת אמבולטורית	כ"ן	
מספר משוער של משתתפים	6	
הכללה	<ol style="list-style-type: none"> 1. ניתנה הסכמה מדעת ע"י ההורה/ אפוטרופוס 2. יש אבחנה לדושן 3. גיל הנבדק גדול משנתיים וקטן משש שנים בזמן הגיוס למחקר 4. ללא טיפול קודם בסטרואידים 5. יש יכולת ניידות 6. תוצאות בדיקות מעבדה בביקור סקרינינג תקינות או שאינן משמעותיות קלינית לדעת החוקר. בדיקת נוגדנים TB serology שלילית 7. הנבדק והוריו או אפוטרופוס שלו מוכנים לשתף פעולה עם תרופת המחקר והביקורים הנדרשים 	קריטריונים הכללה ואי הכללה
אי הכללה	<ol style="list-style-type: none"> 1. גיל צעיר משנתיים או גדול משש שנים 2. היסטוריה או מחלה נוכחית של כליות, כבד סכרת או דיכוי של מערכת חיסון 3. זהום ויראלי או פטרייתי מערכתי בעבר או בהווה 4. מחלה בטווח של 4 שבועות טרם קבלת מינון ראשון של התרופה 5. קבלת חיסון 'חי' בטווח של חודש לפני המחקר 6. עדות לקרדיו-מיופתיה סימפטומטית 7. המטופל מקבל או קיבל בעבר טיפול בסטרואידים או מדכאי חיסון אחרים (למעט טיפול שאינו לדושן דרך הפה למשך של עד שלושה חודשים וטיפול בשאיפה או מקומי במינון קבוע בטווח של 3 חודשים לפחות לפני קבלת תרופת המחקר) 8. מצב רפואי, היסטוריה רפואית, ממצאים אבנורמליים בבדיקה קלינית או בבדיקות מעבדה היכולים לפגוע בבטיחותו של המטופל, בפרוטוקול הטיפול והמעקב ו/או בהערכת התוצאות ע"פ דעת החוקר 9. קבלת תרופת מחקר אחרת כיום או בטווח של 3 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר הנוכחי <p>ניתן לחזור על בדיקות במידת הצורך ו/או לבצע סקרינינג חוזר במידה וקיים מצב חולף המונע השתתפות במחקר באותו זמן</p>	
סוג	מחקר בתווית פתוחה, פיילוט במינון עולה של התרופה	תיאור המחקר
קבוצות המחקר	3 הנבדקים הראשונים יקבלו מינון של 2 מ"ג לק"ג מתרופת המחקר canakinumab, במידה ותהיה סבילות לכך 3 הנבדקים הבאים יקבלו מינון של 4 מ"ג לק"ג	
דרך מתן התרופה	הזרקה חד פעמית תת עורית	



<p>המעקב אחר בטיחות וביו מרקרים ימשך כ 30 יום ויכלול 4 ביקורים: ביקור ראשון-סקרינינג כולל בדיקות מעבדה לערכי בסיס, ביקור שני- קבלת הטיפול, ביקור שלישי- הערכה ביום 10-14 כולל בדיקות מעבדה וביקור רביעי ביום ה 30 שיכלול גם הוא לקיחת בדיקות מעבדה. כמו כן, תערך שיחת טלפון 3-5 ימים לאחר ההזרקה להערכת תופעות לוואי</p>	<p>משך המחקר</p>	
<p>1. הערכה קלינית של מצב בריאותי ותופעות לוואי 2. בדיקות מעבדה להערכת תופעות לוואי יבוצע כשבועיים ו-4 שבועות לאחר קבלת תרופת המחקר</p>	<p>מדד עיקרי</p>	<p>מדדי התוצאה</p>
<p>השינוי מהערכת הבסיס במדדי דלקת בסרום כולל: CD23, Protein C, CCL22, lymphotoxin a1/b1, CD49a, Ly9 and MMP-9, 12 כשבועיים ו-4 שבועות לאחר קבלת תרופת המחקר</p>	<p>מדדים משניים</p>	

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

