

**CAP-1002 (HOPE-2)**

Capricor

שלב 2. הושלם

**A Study of CAP-1002 in Ambulatory and Non-Ambulatory Patients With Duchenne Muscular Dystrophy (HOPE-2)**

תקציר-

**התרופה מיועדת** למנוע ולשפר נזקים הנגרמים מהעדר חלבון דיסטרופין בשרירי השלד והלב. לתרופה השפעה גם על מערכת החיסון, הפחתת דלקת ופיברוזיס. החומר הפעיל CAP-1002 מכיל בתוכו תאי גזע המשחררים אקסוזומים (בועות זעירות) המגיעים לתאים שונים בגוף. זהו מחקר רנדומלי סמוי שישווה את הטיפול בתרופה לקבוצת פלצבו (ביחס של 1:1). קבוצת הפלצבו תוכל לקבל את תרופת המחקר לאחר כשנה במסגרת מחקר המשך. **המשתתפים**- בני 10 שנים ומעלה, עם/ ללא יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע **התרופה תינתן** בעירוי תוך ורידי אחת ל-3 חודשים, סה"כ 4 פעמים. **משך המחקר** שנה. **המדד העיקרי** שיוערך יהיה שינוי במבחן תפקוד לגפה עליונה (PUL).

A Phase 2, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Trial Evaluating the Safety and Efficacy of Intravenous Delivery of Allogeneic Cardiosphere-Derived Cells in Subjects With Duchenne Muscular Dystrophy	<b>שם המחקר</b>	
ארה"ב	<b>מתקיים ב</b>	
שימור ושיפור מצב השריר ותפקודו	<b>אסטרטגיית טיפול</b>	
טיפול תאי שמקורו בתאי לב (cardiosphere-derived cell CDC), השפעת הטיפול נצפתה גם על שרירי השלד. החומר הפעיל CAP-1002 מכיל בתוכו תאי הגזע מהם מתפתחים תאי לב. התאים עצמם אינם נקלטים ברקמת הלב, אלא משחררים אקסוזומים (בועות זעירות) המגיעים לתאים שונים בגוף, משפרים ומונעים נזקים הנגרמים מהעדר החלבון דיסטרופין. הטיפול מראה אפקטים רב-מערכתיים עוצמתיים הכוללים השפעות על מערכת החיסון, הפחתה בתהליכים דלקתיים ופיברוזיס וכן זירוז התחדשות שרירי הלב והשלד.	<b>מהות הטיפול</b>	
לבחון את הבטיחות והיעילות של הטיפול התאי CAP-1002 בחולי דושן	<b>מטרת המחקר</b>	
בנים	מגדר	



10 ומעלה	גיל	<b>אוכלוסיית המחקר</b>
כן, לפחות חצי שנה ובמינון קבוע 3 חודשים לפני הכניסה למחקר	טיפול בסטרואידים	
במחקר יכללו נבדקים עם וללא יכולת אמבולטורית	יכולת אמבולטורית	
18	מספר משתתפים	
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. ישנה אבחנה גנטית לדושן</li> <li>2. יש ירידה בכח השריר על פי בדיקת (PUL) Performance of Upper Limb</li> <li>3. ירידה ביכולת ההליכה/ ריצה (אם אמבולטורים)</li> <li>4. טיפול קבוע בסטרואידים במשך של לפחות שנה ובמינון קבוע לפחות 6 חודשים לפני הכניסה למחקר (למעט התאמה למשקל גוף)</li> <li>5. מחוסנים על פי נוהל מקובל</li> </ol>	הכללה	<b>קריטריונים להכללה ואי הכללה</b>
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Left ventricular ejection fraction &lt; 35%</li> <li>2. BMI &gt; 45</li> <li>3. בעלי יכולת ניידות במידה וגדולים מ 18 שנים</li> <li>4. מוטציות גנטיות של: דילוג על אקסון 44 וחסר אקסונים 3-7</li> <li>5. Percent-predicted forced vital capacity (FVC) &lt; 35%</li> <li>6. מחלה כרונית ריאתית שאינה קשורה לדושן לדג' אסטמה</li> <li>7. סכרת עם צורך בטיפול במטמורפין או אינסולין בטווח של 3 חודשים לפני כניסה למחקר.</li> <li>8. טיפול במינון קבוע בתרופת דילוג על אקסון מאושרת בטווח של 24 חודשים לפני כניסה למחקר.</li> <li>9. טיפול בהורמון גדילה 3 חודשים לפני כניסה למחקר אלא אם במינון קבוע במשך של 24 חודשים</li> <li>10. טיפול ב idebenone בטווח של 3 חודשים לפני כניסה למחקר</li> <li>11. טיפול תאי 12 חודשים לפני כניסה למחקר</li> <li>12. טיפול במוצר/תרופת מחקר 6 חודשים לפני כניסה למחקר</li> </ol>	אי הכללה	
מחקר רנדומלי כפול סמיות	סוג המחקר	<b>תיאור המחקר</b>
<p>הנבדקים יחולקו ל-2 קבוצות ביחס של 1:1</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• קבוצת המחקר שתקבל את התרופה CAT-1002</li> <li>• וקבוצת פלצבו לביקורת</li> </ul> <p>במידה והתוצאות יצביעו על בטיחות שימוש בתרופה קבוצת הפלצבו תוכל להיכנס למחקר המשך ולקבל גם כן את תרופת המחקר לאחר כשנה.</p>	קבוצות המחקר	



עירוי תוך ורידי התרופה תינתן 4 פעמים, אחת ל-3 חודשים במשך של שנה.	דרך מתן התרופה	
שנה	משך המחקר	
שינוי במבחן PUL בחלק של המרפק – לאחר 12 חודשים	מדדי תוצאה עיקרים	<b>מדדי התוצאה</b>
<p>1. שינוי במבחן PUL בחלק של המרפק – לאחר 3,6, ו-9 חודשים</p> <p>2. שינוי בעובי קיר החדר השמאלי בלב כפי שיוערך בבדיקת MRI בזמן הסיסטולה (כמעיד על תפוקת הלב בחולי דושן)</p> <p>בנוסף תוערך היעילות במדדי תפקודי ריאות, תפקודי ניידות פונקציונלית North Star Ambulatory Assessment בחולים אמבולטוריים כוח ואיכות חיים</p> <p>מדדי בטיחות יכללו מעקב אחר תופעות לוואי, שימוש בתרופות קבועות, בדיקה פיזיקלית, סימנים חיוניים, ECG ובדיקות מעבדה</p>	מדדים משניים	

## תוצאות

### בטיחות-

- בסה"כ המחקר נמצא בטוח
- היו תופעות לוואי שכללו אלרגיה כולל 2 חמורות בתגובה זו (SAE)
- יעילות-
- נצפתה ירידה קטנה יותר משמעותית בציון PUL (הפרש של 2.4 לעומת קבוצת פלצבו)
- תפקוד לבבי- ירידה של פחות מ 1% ב left ventricular fraction לעומת כ 2% בקבוצת הפלצבו. כמו כן, נצפה שיפור בנפחים בסוף הדיאסטולה והסיסטולה לעומת קבוצת הפלצבו
- ירידה ברמות CKMB (ביו מרקרים של שריר הלב)
- תפקוד נשמתי- שיפור בבדיקות inspiratory flow reserve ו- predicted PEF % לעומת קבוצת הפלצבו.

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



### תוצאות מחקרים קודמים

CAP-1002 (HOPE), שלב 1/2

**מטרת המחקר** מטרתו של המחקר הייתה לבחון את הבטיחות והיעילות ההתחלתית של טיפול בודד ב-CAT-1002 מול קבוצת פלסבו (יחס 1:1). הטיפול ניתן בצורת עירוי ישיר לוריד לבבי ראשי.

**מי השתתף במחקר**- במחקר השתתפו 25 מטופלים בגילאי 12 עד 22 שנים המאובחנים עם דושן וקרדיומיופטיה משמעותית (נוכחות רקמת צלקת ב-4 אזורים של החדר השמאלי של הלב לפחות). המשתתפים היו תחת טיפול סטרואידים באופן קבוע 6 חודשים לפחות לפני תחילת המחקר.

### תיאור המחקר

המחקר נערך בתווית פתוחה בתחילתו מחצית מהמטופלים, קיבלו עירוי חד פעמי של הטיפול התאי. במהלך המחקר נבדקו תופעות לוואי והשפעות הטיפול על כמות הצלקת בתוך הלב המוערכת ע"י בדיקות MRI, שינוי ברמת התנועתיות של המטופלים, תפקודי ריאות, ופרופיל ביו-מרקרים בדם.

### תוצאות

לפי התוצאות שנמדדו במהלך 12 חודשים לאחר הטיפול נצפתה ירידה בכמות הצלקת לבבית ועליה בתנועתיות הידיים (מבחן PUL)

[למידע אודות מחקר שלב 1/2](#) באתר בינלאומי של מחקרים קליניים

[למידע אודות המחקרים באתר החברה Capricor](#)

