

DS-5141B

Daiichi Sankyo

שלב 1/2. הושלם

תקציר

התרופה מיועדת לדילוג על חסר באקסון, מתאים לדילוג על אקסון 45, ויצירת דיסטרופין קצר יותר. זהו מחקר רנדומלי, סמוי שישווה את הטיפול בתרופה במינונים שונים וכן לקבוצת פלצבו. המשתתפים- בני 5-10 בעלי יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע או שלא נטלו סטרואידים עד הכניסה למחקר. התרופה תינתן בזריקה תת עורית בתדירות שבועית. משך המחקר 96 שבועות. למחקר שלב 2 יהיה מחקר המשך שמשכו יהיה 48 שבועות נוספים. במחקר ההמשך יקבלו כל המשתתפים את תרופת המחקר. המדדים העיקריים שיוערכו יהיו מספר תופעות הלוואי בזמן נטילת תרופת המחקר, מדדים פרמוקניטיים של התרופה ('התנהגות' התרופה בגוף, ספיגה, פיזור הפרשה) ורמות ביטוי דיסטרופין בשריר.

Phase I/II Study of DS-5141b: Open-label Study of DS-5141b in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy		שם המחקר	
יפן		מתקיים ב	
Exon skipping 45		אסטרטגיית טיפול	
התרופה מתאימה לחולי דושן עם אבחון גנטי המתאים לדילוג על אקסון. החומר הפעיל נקשר לאקסון ובכך מאפשר דילוג עליו, חיבור בין שני קצות החסר והיווצרות של חלבון דיסטרופין מקוצר		מהות הטיפול	
להעריך את הבטיחות, הסבילות, היעילות והפרמוקניטה של התרופה DS-5141b בחולים עם דושן בעלי מוטציה המתאימה לטיפול ב'דילוג' על אקסון 45 (exon 45) skipping ולקבוע את המינון למחקרים הבאים בתרופה זו		מטרת המחקר	
בנים	מגדר	אוכלוסיית המחקר	
5-10	גיל		
טיפול בסטרואידים למחקר או ללא טיפול בסטרואידים	טיפול בסטרואידים		
כן	יכולת אמבולטורית		
7	מספר משוער של משתתפים		



<ol style="list-style-type: none"> מוטציה מסוג חסר out-of-frame היכולה להיות מתוקנת ע"י 'דילוג' על אקסון 45 אפשרות לביצוע ביופסיית שריר בנים בני 5 עד 10 שנים (הקטנים מגיל 11 שנים) יכולת הליכה של לפחות 325 מטר בבדיקת 6 דקות הליכה. טיפול בסטרואידים לפחות חצי שנה ובמינון קבוע ב 3 חודשים טרם הכניסה למחקר או 'נאיבים' לסטרואידים (שאינם לקחו סטרואידים בעבר) 	<p>הכללה</p>	<p>קריטריונים להכללה ואי הכללה</p>
<ol style="list-style-type: none"> מוטציה גנטית שאינה מתאימה לטיפול ב 'דילוג' על אקסון 45 מחלה נוכחית אחרת מדושן היכולה לגרום לחולשת שרירים ו/או קושי בתפקוד מוטורי לקות חמורה נוכחית או בעבר תפקוד לבבי- Left ventricular ejection fraction (LEVF) > 55%, Corrected QT interval (QTc) < 45 שניות 	<p>אי הכללה</p>	
<p>תווית פתוחה</p>	<p>סוג המחקר</p>	
<p>המחקר יחולק לשתי קבוצות בשני חלקים</p> <p>חלק 1 - DS-5141b יוזרק אחת לשבוע במשך שבועיים ולאחר מכן יעלה המינון. בקב' מחקר אחד יוזרקו המינונים 0.1 ו- 2.0 מ"ג לק"ג, בקב' מחקר שניה יוזרקו המינונים 0.5 ו- 6.0 מ"ג לק"ג.</p> <p>חלק 2- ימשיך בקבלת המינון הגבוה (2 מ"ג ו-6 מ"ג) אחת לשבוע במשך 12 שבועות.</p> <p>מחקר המשך של חלק 2- שני המינונים 2.0 ו-6.0 מ"ג לק"ג יינתנו אחת לשבוע למשך 48 שבועות</p>	<p>קבוצות המחקר</p>	<p>תיאור המחקר</p>
<p>זריקה תת עורית</p>	<p>דרך מתן התרופה</p>	
<ol style="list-style-type: none"> מספר הנבדקים שהופיע אצלם תופעת לוואי treatment-emergent adverse events (TEAEs). מזדים פרמוקנטיים ('התנהגות' התרופה בגוף, ספיגה, פיזור הפרשה) ביטוי דיסטרופין ברקמת השריר 	<p>מדדי תוצאה עיקריים</p>	<p>מדדי התוצאה</p>
<p>ייצור mRNA (messenger) של exon 45-skipped dystrophin.</p>	<p>מדדים משניים</p>	
<p>בטיחות תוערך ע"י דיווח על תופעות לוואי, בדיקות מעבדה, בדיקת סימנים חיוניים, בדיקת א.ק.ג, בדיקה פיזיקלית. כמו כן, יבוצעו בדיקות דם להערכת הפרמוקנטיקה של התרופה.</p>	<p>בטיחות</p>	



תוצאות

בטיחות- לא נצפו בעיות בטיחותיות או תופעות לוואי משמעותיות ולא נדרשה הפסקה של המחקר

יעילות

- מדד התוצאה העיקרי שנבדק- ביטוי דיסטרופין ברקמת השריר הושג רק חלקית ולא זוהה באופן משמעותי בכלל
- מדד התוצאה המשני- ייצור mRNA זוהה בכל המשתתפים

למידע מפורט אודות המחקר באתר בינלאומי של מחקרים קליניים

