

EPM-01

Epirium Bio

המחקר מיועד לחולי ניוון שרירים בקר
שלב 1. פעיל, סיים גיוס

תקציר-

התרופה מיועדת לחידוש אנרגיה תאית זהו מחקר בתווית פתוחה ובמינונים עולים המיועד להעריך בעיקר את בטיחותו וכן את יעילותו של החומר אפיקאטכין. המשתתפים- חולי ניוון שרירים בקר בני 16 ועד פחות מגיל 60 שנים שהיו בעלי יכולת אמבולטורית גם לאחר גיל 16 ושנטלים סטרואידים במינון קבוע לפחות שנה לפני המחקר או שאינם נוטלים סטרואידים. התרופה תינתן דרך הפה. משך המחקר 52 שבועות. המדדים העיקריים שיוערכו יהיו מספר תופעות הלוואי. כמו כן, יוערך השיפור בתפקוד השרירי והלבבי.

A Phase 1, Open-label, Dose Escalation Study to Evaluate the Safety and Preliminary Efficacy of Orally Administered (+)-Epicatechin in Patients With Becker or Becker-like Muscular Dystrophy With Continued Ambulation Past 16 Years of Age		שם המחקר	
ארה"ב		מתקיים ב	
שימור אנרגיה תאית		אסטרטגיית טיפול	
אפיקאטכין (Epicatechin) חומר המצוי גם בשקולד מריר נמצא כמעודד היווצרות מיטוכונדריה בחיות ובני אדם ובמקביל תורם לחידוש רקמת השריר. החומר הפעיל מחקה פעילות הורמון שמשחרר משריר בריא לאחר פעילות גופנית וככל הנראה אחראי לחידוש המיטוכונדריה וחיזוק סיבי השריר בעקבות האימון		מהות הטיפול	
להעריך את הבטיחות והיעילות הראשונית של החומר אפיקאטכין במינונים עולים בחולי בקר		מטרת המחקר	
בנים	מגדר	אוכלוסיית המחקר	
16-59	גיל		
מינון קבוע במהלך השנה לפני הכניסה למחקר או ללא	טיפול בסטרואידים		
המשתתפים צריכים להציג שהיו בעלי יכולת אמבולטורית באופן מתמשך לאחר גיל 16	יכולת אמבולטורית		
20	מספר משוער של משתתפים		



<ol style="list-style-type: none"> 1. גיל- מעל 16 שנים ומתחת ל 60 שנים 2. גנוטיפ המראה מוטציה בגן הדיסטרופין 3. יכולת אמבולטורית גם מעבר לגיל 16 4. במידה ומטופלים סטרואידים- במינון קבוע 12 חודשים טרם ביקור הסקריוניג או ללא טיפול. במהלך המחקר לא יהיה ניתן להתחיל בטיפול סטרואידים. 	<p>הכללה</p>	<p>קריטריוני ם להכללה ואי הכללה</p>
<ol style="list-style-type: none"> 1. אבחנה של מחלה נירולוגיות אחרת או נוכחות של מצב סומטי אחר שאינו קשור לבקר 2. היסטוריה של כאבי ראש מסוג מיגרנה שדרשו התערבות טיפולית במהלך 6 החודשים האחרונים 3. אלרגיה לשוקולד או קקאו 4. ניתוח או פציעה אורתופדית היכולה להשפיע על כח ותפקוד השריר בטווח של 3 חודשים לפני הכניסה למחקר או ניתוח מתוכנן למהלך תקופת המחקר 5. נוכחות מחלה נירולוגית היכולה לפגוע בניידות ובשווי המשקל (לדג' פרקינסון) 6. סימפטומים של מחלת לב או $LVEF > 40\%$ בבדיקת אקו 7. נוכחות מחלת ריאה אינטרסטיציאלית (לגד' COPD ופיברוזיס ריאתי) 8. מחלה או נזק בכבד 9. פגיעה בתפקודי כליה 10. ערכים לא תקינים של טסיות, כדוריות דם והמוגלובין בבדיקת הסקריוניג 	<p>אי הכללה</p>	
<p>מחקר בתווית פתוחה במינונים עולים</p>	<p>סוג המחקר</p>	<p>תיאור המחקר</p>
<p>יבחנו 3 מינונים (75, 150 ו-225 מ"ג ליום) החל מהמינון הנמוך שיועלה אחת לחודשיים במידת האפשר. בתום ששת החודשים המשתתפים ימשיכו ל-6 חודשים נוספים במינון הגבוה הנסבל אליו הגיעו</p>	<p>קבוצות המחקר</p>	
<p>דרך הפה</p>	<p>דרך מתן התרופה</p>	
<p>52 שבועות</p>	<p>משך המחקר</p>	
<p>מספר המשתתפים שיחוו תופעות לוואי במהלך המחקר [יוגדר וידורג ע"פ CTCAE, Version 5.0]</p>	<p>מדדי תוצאה עיקריים</p>	<p>מדדי התוצאה</p>



	מדדים משניים	
1. שינוי בתפקוד לבבי ע"פ MRI וביומרקרים בדם		
2. שינוי בתפקוד שרירי ע"פ בדיקת 6 דקות הליכה, זמן הליכה/ריצה ל 10 מטר, עליית 4 מדרגות וזמן הליכה/ ריצה ל 100 מטר		
3. שינוי בתפקוד ומבנה שריר בביופסיה		
4. שינוי בביומרקרים המצביעים על רגנרציית שרירי בבדיקת ביופסיה.		
5. שינוי בביומרקרים בפלסמה המצביעים על רגנרציית שריר (לדג' מיוסטאטין)		
מדדים אלו יוערכו בתקופת זמן המחקר עד להשלמת שנה		

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

