

## IFETROBAN

### Cumberland Pharmaceuticals

#### שלב 2. מגייס

### Oral Ifetroban in Subjects With Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)

תקציר-

**התרופה מיועדת** לשיפור התפקוד הלבבי בחולים עם קרדיומיופטיה. **זהו מחקר** רנדומלי, סמוי שישווה את הטיפול בתרופה ב 2 מינונים שונים וכן לקבוצת פלצבו. **המשתתפים**- בני 7 שנים ומעלה, עם/ ללא יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע או שלא נטלו סטרואידים לפחות 30 יום טרם המחקר. הנבדקים יחולקו לשתי קבוצות ע"פ רמות התפקוד הלבבי (מדד LVEF מעל 45% ו 35-45%) **התרופה תינתן** דרך הפה בתדירות יומית. **משך המחקר** שנה. **המדד העיקרי** שיוערך יהיה מספר תופעות הלוואי בזמן נטילת תרופת המחקר. כמו כן יוערכו התפקודים הלבביים, פרמוקנטיקה של התרופה (אופן 'התנהגות' התרופה בגוף לדוגמה: ספיגה, פיזור והפרשה של התרופה), תפקודי ריאות ואיכות חיים.

<b>The Fight DMD Trail</b> A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multiple Dose Study With an Open-Label Extension to Determine the Safety, Pharmacokinetics and Efficacy of Oral Ifetroban in Subjects With Duchenne Muscular Dystrophy		<b>שם המחקר</b>	
ארה"ב		<b>מתקיים ב</b>	
שיפור התפקוד הלבבי		<b>אסטרטגיית טיפול</b>	
Ifetroban מיועד למניעת היווצרות רקמה פיברוטית בלב ושיפור התפקוד לבבי.		<b>מהות הטיפול</b>	
להעריך את הבטיחות, הפרמוקנטיקה והיעילות של התרופה Ifetroban בשני מינונים גבוה ונמוך		<b>מטרת המחקר</b>	
בנים	מגדר	<b>אוכלוסיית המחקר</b>	
7 ומעלה	גיל		
לא מחייב. במידה וכן, מינון קבוע של סטרואידים לפחות 8 שבועות. במידה ולא- ללא טיפול לפחות 30 ימים	טיפול בסטרואידים		
לא מחייב	יכולת אמבולטורית		
48	מספר משוער של משתתפים		

<ol style="list-style-type: none"> <li>1. בני 7 ומעלה עם אבחנה מוכחת לדושן</li> <li>2. מינון קבוע של סטרואידיים לפחות 8 שבועות או שלא קיבלו סטרואידיים לפחות לפחות 30 ימים</li> <li>3. קריטריונים מוגדרים לרמות תפקוד לבבי</li> <li>4. הסכמה מדעת ע"פ גיל</li> </ol>	<p>הכללה</p>	<p><b>קריטריוני ם להכללה ואי הכללה</b></p>
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. מחלה משמעותית אחרת שאינה דושן</li> <li>2. בדיקות מעבדה לא תקינות שאינן קשורות לדושן</li> <li>3. ניתוח גדול 6 שבועות לפני תחילת המחקר או ניתוח מתוכנן לתקופת המחקר</li> <li>4. צורך בטיפול להפרעות קצב או משתנים על רקע אי ספיקה לבבית חריפה ב 6 חודשים האחרונים</li> <li>5. LVEF &gt; 35% ו/או FS הקטן מ 15% בבדיקת אקו לב.</li> <li>6. בעיית דימום / קרישה ידועה או צורך בטיפול קרישתי שבועיים לפני הכניסה למחקר</li> <li>7. אלרגיה ל gadolinium contrast או אי ספיקה כלייתית ע"פ רמות cystatin C</li> <li>8. שתל או נוכחות קוצב לב המונע יכולת ביצוע בדיקת MRI</li> <li>9. שימוש בתרופת מחקר אחרת בזמן של פחות מ 30 יום טרם גיוס למחקר זה או אחר ע"פ קריטריונים מוגדרים בפרוטוקול</li> <li>10. כל מצב אחר העלול להפריע להשתתפותו של הנבדק</li> </ol>	<p>אי הכללה</p>	
<p>מחקר רנדומלי, כפול סמיות, בהשוואה לפלצבו ובמספר מינונים כמו כן, יתקיים מחקר המשך בתווית פתוחה</p>	<p>סוג המחקר</p>	<p><b>תיאור המחקר</b></p>
<p>המחקר יכלול 3 קבוצות: קבוצה שתקבל מינון נמוך של התרופה, קבוצה שתקבל מינון גבוה וקבוצת פלצבו כל קבוצת מינון תכלול 8 נבדקים עם קרדיומיופתיה בשלב מוקדם, LVEF &lt; 45% ו-8 נבדקים עם קרדיומיופתיה מתקדמת יותר LVEF 35-45%</p>	<p>קבוצות המחקר</p>	
<p>דרך הפה, פעם ביום במשך שנה</p>	<p>דרך מתן התרופה</p>	
<p>12 חודשים</p>	<p>משך המחקר</p>	
<p>שכיחות תופעות לוואי</p>	<p>מדדי תוצאה עיקרים</p>	<p><b>מדדי התוצאה</b></p>



מדדים משניים	
1. ערכי פרמוקניטיקה ביום 0 ו-7	
2. השינוי ממדידת הבסיס בערך LVEF	
3. השינוי ממדידת הבסיס בתפקודי הריאות- FRV	
4. השינוי בשאלון איכות חיים PedsQL	

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

