

## Rimeporid

### EspeRare Foundation

#### שלב 1/2 סיים גיוס

#### תקציר-

התרופה מיועדת לוויסות רמת יוני הסידן בתא, מונעת תהליכים המובילים להרס וע"י כך הפחתת פיברוזיס ודלקתיות בשרירי השלד, הלב והסרעפת. זהו מחקר בתווית פתוחה שבדק 4 מינונים של התרופה. **המשתתפים**- בני 6-14 בעלי יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע. התרופה ניתנה דרך הפה 3 פעמים ביום. **משך המחקר** 4 שבועות **המדדים שהוערכו** כללו תפקודים פיזיקליים, תפקודי לב ופרמטרים שונים בבדיקות מעבדה. בנוסף נערכה בדיקת MRI.

#### מהות הטיפול

החומר הנחקר Rimeporid אמור להאט את הרס תאי השריר ע"י ויסות רמת יוני הסידן בתא. החומר מעכב את הקולטן NHE-1, המעורב בתהליך חדירת יוני סידן לתוך תאי השריר. מניעת הצפת יתר של יוני סידן לתוך התא מונעת תהליכים המובילים להרס של התא. חומר זה פותח לצורך טיפול באי ספיקת לב מתקדמת במבוגרים. בניסויים פרה-קליניים התרופה הראתה נתונים מבטיחים לגבי תפקודי שרירים, הפחתת פיברוזיס ודלקתיות בשרירי השלד, הלב והסרעפת. בחיות mdx ואוגרים נצפתה ירידה בתמותה, בקרדיומיופטיה ובכמות הפיברוזיס.

**התקיים ב:** איטליה, בריטניה, ספרד, צרפת

#### מחקר שלב 1b בתרופה זו הסתיים, להלן עיקרי הדברים

מחקר רב מרכזי בתווית פתוחה **שמטרתו** הייתה להעריך בטיחות וסבילות. במחקר נבחנו השפעתם של 4 מינונים של התרופה. במחקר **השתתפו** 20 מטופלים אמבולטוריים המאובחנים עם דושן, בגילאי 6 עד 14 שנים, עם משטר קבוע של סטרואידים.

#### תיאור המחקר

המשתתפים חולקו ל-4 זרועות, כאשר בכל זרוע יש 5 משתתפים. קבוצת המשתתפים בכל זרוע מקבלת מינון מוגדר במשך 4 שבועות. התרופה ניתנת בצורת כמוסות 3 פעמים ביום.

החלטה להעלות למינון גבוהה יותר מתקבלת רק לאחר קבלת תוצאות חיוביות של בדיקות הבטיחות. ממדי התוצאה כללו תפקודים פיזיקליים של המטופלים, תפקודי לב ופרמטרים שונים במחזור הדם, הפלסמה והשתן. בנוסף, המטופלים עברו 2 סקירות MRI. באמצעות הסקירות החוקרים רוצים לפתח סממנים ביולוגיים לא פולשניים חדשים (noninvasive biomarkers) לצורך מעקב יעיל יותר.

#### תוצאות ראשוניות- בטיחות

מספר תופעות הלואי



קבוצת מחקר ע"פ מינון	50 מ"ג לק"ג	100 מ"ג לק"ג	150 מ"ג לק"ג	200 מ"ג לק"ג
Treatment emergent adverse event TEAEs	2	1	5	4
Treatment emergent adverse drug reaction ADRs	0	0	0	2
Serious adverse event SAE	0	0	1	0

רב תופעות הלוואי, כולל תופעת הלוואי שהוגדרה כחמורה (SAE), כללו סימפטומים של הפרעות במערכת העיכול (בחילות והקאות, שלשולים וכאבי בטן). כמו כן, מצוינים כאב בגפיים, כאב ראש, צמרמורות, פצע בפה, הפרעה (ניקוב) באוזן.

## מחקר שלב 2 כרגע בהיערכות

למידע מפורט אודות מחקר שלב 1 באתר בינלאומי למחקרים קליניים

למידע נוסף אודות המחקר [באתר החברה](#)

