

SGT-001

Solid Biosciences

שלב 1/2 מגייס

## Microdystrophin Gene Transfer Study in Adolescents and Children With DMD (IGNITE DMD)

### תקציר

**התרופה מיועדת** להכנסת חומר גנטי המקודד לדיסטרופין מקוצר (micro-dystrophin) בתוך AAV (ויורוס). **זהו מחקר** רנדומלי בתווית פתוחה להשוואה בין תרופת המחקר לקבוצת ביקורת ללא טיפול. לאחר כשנה של השתתפות במחקר, גם קבוצת הביקורת תוכל להתחיל בקבלת התרופה. **המשתתפים** - בנים בני 4-17 עם או ללא יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע. יוכלו להשתתף רק בעלי בדיקה שלילית לנוגדנים ל AAV9 **התרופה תינתן** בעירוי חד פעמי. **משך המחקר** שנתיים. **המדדים** העיקריים שיוערכו יהיו שינוי ברמות המיקרו-דיסטרופין בביופסיית שריר, שכיחות תופעות לוואי, בדיקות מעבדה, בדיקה פיזיקלית וא.ק.ג.

<b>IGNITE DMD</b> A Randomized, Controlled, Open-label, Single-ascending Dose, Phase I/II Study to Investigate the Safety and Tolerability, and Efficacy of Intravenous SGT-001 in Male Adolescents and Children With Duchenne Muscular Dystrophy	<b>שם המחקר</b>	
ארצות הברית	<b>מתקיים ב</b>	
מיקרו דיסטרופין	<b>אסטרטגיית טיפול</b>	
הכנסת חומר גני המקודד לדיסטרופין מקוצר (micro-dystrophin), ע"י עירוי חד פעמי של החומר בתוך AAV (ויורוס).	<b>מהות הטיפול</b>	
מטרת המחקר היא לבדוק את הבטיחות, סבילות והיעילות של הטיפול בחומר SGT-001.	<b>מטרת המחקר</b>	
בנים	מגדר	



4-17	גיל	<b>מאפייני המשתתפים</b>
כן, מינון יומי קבוע של סטרואידים בטווח של לפחות 24 שבועות	טיפול בסטרואידים	
יכללו ילדים אמבולטורים ומתבגרים שאינם אמבולטורים	יכולת אמבולטורית	
16	מספר משוער של משתתפים	
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. אבחנה גנטית וקלינית לדושן</li> <li>2. היעדר דיסטרופין בשריר ע"פ ביופסיה</li> <li>3. רמות נוגדנים ל AAV9 מתחת לסף מוגדר ע"פ פרוטוקול ספציפי</li> <li>4. תפקודי לב וריאות יציבים</li> <li>5. ילדים עם יכולת ניידות מוגדרת ע"פ פרוטוקול ספציפי ומתבגרים שאינם ניידים ע"פ הגדרת פרוטוקול ספציפי.</li> <li>6. מינון יומי קבוע של סטרואידים בטווח של לפחות 24 שבועות</li> </ol>	הכללה	<b>קריטריונים להכללה ואי הכללה להשתתפות במחקר</b>
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. מצב רפואי או ממצאים בבדיקה פיזיקלית, בבדיקת א.ק.ג. ו/או בבדיקות מעבדה היכולים לפגוע בבריאותו של הנבדק, להפריע להשלמת הטיפול, המעקב ותוצאות המחקר</li> <li>2. אבנורמליות בבדיקת תפקודי כבד</li> <li>3. אבנורמליות בבדיקת תפקודי כליות</li> <li>4. בעיות קרישה משמעותיות קלינית</li> <li>5. תפקוד לבבי לקוי ע"פ בדיקת MRI אן אקו לב</li> <li>6. תקודי נשימה לקויים ע"פ ערכי בדיקת FVC או צורך בתמיכה נשימתית ביום</li> <li>7. דפורמציה או קיבועים בעמוד השדרה</li> <li>8. Body mass index גדול מאחוזון 95 מותאם גיל</li> <li>9. חשיפה לתרופת מחקר אחרת 3 חודשים או זמן מחצית חיים של 5 טרם ביקור הסקרנינג</li> <li>10. חשיפה לתרופות מכוונות לביטוי דיסטרופין או יוטרופין 6 חודשים טרם ביקור הסקרנינג</li> </ol>	אי הכללה	
מחקר השוואתי, רנדומלי, בתווית פתוחה	סוג	<b>תיאור המחקר</b>



<p>המחקר יכלול 2 קבוצות נבדקים:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. קבוצה אקטיבית שתקבל את תרופת המחקר SGT-001 בעירוי חד פעמי. אחרי הנבדקים בקבוצה זו יבוצע מעקב למשל של שנתיים.</li> <li>2. קבוצת ביקורת- ללא טיפול. הנבדקים בקבוצה זו שימשיכו לעמוד בקריטריונים לטיפול יקבלו את תרופת המחקר, SGT-001 לאחר שנה של השתתפות במחקר</li> </ol>	קבוצות המחקר	
עירוי תוך ורידי יחיד	דרך מתן התרופה	
שנתיים	משך המחקר	
<ol style="list-style-type: none"> <li>1. יעילות- שינוי ברמות המיקרו-דיסטרופין בביופסיית שריר כשנה לאחר קבלת הטיפול, בהשוואה לנקודת ההתחלה</li> <li>2. בטיחות- יוערך לאחר 12 חודשים</li> <li>3. שכיחות תופעות לוואי</li> <li>4. שכיחות תוצאות אבנורמליות בבדיקות מעבדה</li> <li>5. שכיחות תוצאות אבנורמליות בבדיקת סימנים חיוניים</li> <li>6. שכיחות תוצאות אבנורמליות בבדיקה פיזיקלית</li> <li>7. שכיחות תוצאות אבנורמליות בבדיקת א.ק.ג.</li> </ol>	מדדים עיקריים	מדדי התוצאה

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

למידע אודות המחקר [באתר חברת Solid](#)

[לצפייה בהרצאה בנושא המחקר מתוך כנס 2020](#)

