

SRP-5051 MOMENTUM [PPMO]

Sarepta Therapeutics

שלב 2. מגייס

**Study for Dose Determination of SRP-5051, Then Dose Expansion in Patients With Duchenne Muscular Dystrophy Amenable to Exon 51-Skipping Treatment (MOMENTUM)**

תקציר-

**התרופה מיועדת** לדילוג על חסר באקסון, מתאים לדילוג על אקסון 51, ויצירת דיסטרופין קצר יותר. נוסחה משופרת (ביכולת כניסה לתא) של התרופה אקסונדיס 51. זהו **מחקר** בתווית פתוחה במינונים עולים. המחקר יהיה בעל שני שלבים בשלב הראשון קביעת מינון מקסימלי אפשרי, שלב שני המשך במינון הגבוה שנקבע בצרוף נבדקים חדשים. **המשתתפים**- בנים בני 7-21 בשלב הראשון, בשלב השני 4-21 עם או ללא יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע או כאלו שלא קיבלו טיפול כ 12 שבועות טרם המחקר. **התרופה תינתן** בעירוי תוך ורידי בתדירות חודשית. **משך המחקר** החלק הראשון ימשך 12 שבועות, החלק השני 24 שבועות נוספים. על חלק ממדדי התוצאה יבוצע מעקב עד שבוע 68. **המדדים העיקריים** שיוערכו יהיו בחלק ראשון שכיחות תופעות לוואי ובדיקות מעבדה, בחלק השני השינוי ברמות הדיסטרופין בשריר.

<b>MOMENTUM</b> A Phase 2, Two-Part, Multiple-Ascending-Dose Study of SRP-5051 for Dose Determination, Then Dose Expansion, in Patients With Duchenne Muscular Dystrophy Amenable to Exon 51-Skipping Treatment	<b>שם המחקר</b>	
ארה"ב	<b>מתקיים ב</b>	
Exon skipping 51	<b>אסטרטגיית טיפול</b>	
נוסחה משופרת של התרופה אקסונדיס 51: החומר הפעיל הגורם לדילוג על האקסון 51 ומאפשר היווצרות של חלבון מקוצר, מחובר למקטע חלבוני המגביר את חדירות החומר אל תוך תאי השריר	<b>מהות הטיפול</b>	
לקבוע מינון בטוח של התרופה בחולי דושן	<b>מטרת המחקר</b>	
בנים	מגדר	



חלק ראשון 7-21, חלק שני 21-4	גיל	<b>אוכלוסיית המחקר</b>
מינון קבוע לפחות 12 שבועות טרם קבלת תרופת המחקר או ללא טיפול בסטרואידים לפחות 12 שבועות טרם קבלת תרופת המחקר	טיפול בסטרואידים	
המחקר מתאים הן לאמבולטורים והן ללא אמבולטורים	יכולת אמבולטורית	
70	מספר משוער של משתתפים	
<p>1. בעלי אבחנה גנטית לדושן עם מוטציה המתאימה לטיפול ב'דילוג' על אקסון 51</p> <p>2. טיפול במינון קבוע של סטרואידים לפחות 12 שבועות טרם קבלת תרופת המחקר או ללא טיפול בסטרואידים לפחות 12 שבועות טרם קבלת תרופת המחקר</p> <p>3. גילאי 7-21 שנים לחלק הראשון של המחקר, שנים 4-21 לחלקו השני</p>	הכללה	<b>קריטריוני הכללה ואי הכללה</b>
<p>1. left ventricular ejection fraction (LVEF) &gt; 40% בבדיקת אקו, בטווח של 12 שבועות לפני ביקור סקרינינג</p> <p>2. FVC &gt; 40% בטווח של 12 שבועות לפני ביקור סקרינינג</p> <p>3. שימוש ראשוני או שינוי במינון בתרופות לטיפול לבבי (למעט התאמה למשקל גוף)</p> <p>4. שימוש ראשוני או שינוי במינון בתרופות ללא מרשם כגון ויטמינים וטיפול הומופטי בטווח של 12 שבועות לפני ביקור סקרינינג</p> <p>5. טיפול ב'דילוג' על אקסון 51 (exon 51-skipping therapy) בטווח של 12 שבועות טרם ביקור הסקרינינג או בטיפול גנטי לדושן בכל זמן שהוא</p>	אי הכללה	
תווית פתוחה, לא רנדומלי. מתן מינונים עולים	סוג המחקר	<b>תיאור המחקר</b>
<p>המחקר יחולק לשני חלקים:</p> <p><u>חלק ראשון-A</u>: הנבדקים יקבלו אחד מתוך 5 מינונים עולים בהדרגה, במטרה לקבוע את המינון המקסימלי הנסבל. התרופה תינתן בתדירות של אחת לחודש למשך של 12 שבועות לפחות. לאחר קביעת המינון המקסימלי המטופלים שישלימו את שלב זה יעברו להשתתף בשלב השני של המחקר.</p> <p><u>חלק שני-B</u>: הנבדקים יקבלו את המינון הגבוה שנקבע בחלק A אחת לחודש למשך של 24 שבועות. בחלק זה ישתתפו נבדקים שהשלימו את שלב A וכן 15 נבדקים חדשים</p>	קבוצות המחקר	
עירוי תוך ורידי אחת לחודש	דרך מתן התרופה	
חלק A ימשך לפחות 12 שבועות. חלק B 24 שבועות. על חלק ממדי התוצאה יבוצע מעקב עד לשבוע 68	משך המחקר	



<p>חלק A- שכיחות תופעות לוואי כולל תוצאות אב-נורלמליות בבדיקות מעבדה. יוערך במסגרת זמן של 68 שבועות</p> <p>חלק B- השינוי ברמות הדיסטרופין מנקודת ההתחלה (baseline) לשבוע 24</p>	<p>מדדי תוצאה עיקרים</p>	<p>מדדי התוצאה</p>
<p>1. ריכוזי (פרמוקנטיקה) של התרופה בפלזמה</p> <p>2. שינוי ברמות ה'דילוג' על האקסון (Exon-Skipping)</p> <p>3. שכיחות תופעות לוואי. יוערך במסגרת זמן של כ 44 שבועות כולל אבנורמליות בבדיקות מעבדה.</p> <p>4. שינוי בכוח נשיפה מקסימלי (Forced Vital Capacity (FVC))</p> <p>5. שינוי בתוצאת מבחן הניידות North Star Ambulatory Assessment (NSAA)</p> <p>6. שינוי בתוצאת מבחן תפקודי גפה עליונה Performance of Upper Limb (PUL)</p> <p>7. שינוי בתוצאת המבחן לגפה עליונה Brooke Upper Extremity Scale score (Brooke score)</p> <p>8. שינוי בריכוז התרופה SRP-5051 בפלזמה טרם קבלת התרופה ובמספר נקודות זמן במהלך ה 24 שעות לאחר קבלתה.</p> <p>יוערך בשבוע 24 לעומת נקודת ההתחלה</p>	<p>מדדים משניים</p>	

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

