

Tamoxifen-TAMDAD

המחקר מבוצע במימון עמותות חולים ממספר מדינות בעולם ואוניברסיטת בזל בשווייץ

שלב 3. מגייס

תקציר-

התרופה מיועדת להורדת דלקת והאטת היווצרות פיברוזיס כתוצאה מכך. זהו מחקר רנדומלי סמוי המשווה לקבוצת פלצבו. המשתתפים- יחולקו לשתי קבוצות בני 6.5-12, בעלי יכולת אמבולטורית, המטופלים בסטרואידים; בני 16-20 שאינם אמבולטוריים ואינם מטופלים בסטרואידים. משך המחקר 48 שבועות. המדדים שיבדקו יכללו בדיקות תפקוד וביצועי שרירים, סקירת MRI של שרירי הירך, בדיקות דם ובדיקת צפיפות עצם.

מהות הטיפול

טמוקסיפן הינו שם גנרי לתרופה המאושרת לטיפול בחולי סרטן השד ובהפרעות הורמונליות אחרות. במחקרים שונים שנערכו בחיות מעבדה נמצא כי לתרופה יש השפעות במניעת התפתחות הפיברוזיס והיא משפרת את הכוח בשרירים בהם חסר דיסטרופין. בנוסף, טמוקסיפן נבדקה בקרב ילדים בני 5 עד 12 שנים עם אינדיקציות רפואיות אחרות מדושן ונמצאה כבטוחה וסבילה.

מהי מטרת המחקר?

מטרתו של המחקר היא לבחון את הבטיחות והיעילות של הטיפול מול קבוצת ביקורת (יחס 1:1) בקרב חולי דושן.

מתקיים ב: שווייץ, צרפת, בריטניה, גרמניה, הולנד וספרד.

מי יכול להשתתף במחקר?

המחקר מתכנן לגייס 100 מטופלים השייכים לאחד מ-2 קבוצות:

קבוצה A – 80 ילדים אמבולטוריים עם משטר קבוע של סטרואידים בגילאי 6.5 עד 12 שנים.

קבוצה B – 20 ילדים לא אמבולטוריים בגילאי 16 עד 20 שנים אשר לא נוטלים סטרואידים לפחות 6 חודשים לפני תחילת המחקר.

תיאור המחקר

המשתתפים יקבלו 20 מג' של התרופה (או פלסבו) פעם ביום במשך 48 שבועות. השפעת הטיפולים נמדדת ע"י בדיקות תפקוד שרירי, סקירת MRI של שרירי הירך, בדיקות דם ובדיקת צפיפות עצם.

למידע מפורט אודות המחקר באתר בינלאומי של מחקרים קליניים באתר המחקר



מה הן תוצאות המחקר עד כה?

ממחקרים קודמים שנעשו במודל של עכבר עם מחלת דושן (עכבר MDX), נמצא כי התרופה גרמה לירידה משמעותית של רמת פיברוזיס, לירידה ברמת CPK ולעליה משמעותית בתפקודי השרירים. בשילוב עם הסטרואיד פרדניזולון יעילות התרופה אפילו עלתה מעט.

עקב התוצאות הנ"ל ובגלל פרופיל סבילות גבוה של הטיפול בקרב ילדים בני 5 עד 12 שנים עם אינדיקציות רפואיות אחרות, החלה דר' טליה דור מבית החולים הדסה עין כרם בשנת 2016, לקדם את השלב הראשון של המחקר הבודק את בטיחות התרופה בקרב חולי דושן.

מחקר Tamoxifen בישראל (מרכז רפואי הדסה). שלב 1 לא מגייס

מהי מטרת המחקר?

המחקר בודק את הבטיחות של התרופה בקרב ילדים חולי דושן.

מי יכול להשתתף במחקר?

במחקר משתתפים 15 ילדים אמבולטוריים בגילאי 5 עד 16 שנים המאובחנים עם דושן.

תיאור המחקר

משך המחקר הינו שנה עם אפשרות להארכה לשנתיים נוספות. במחקר נבדקת השפעת הטיפול על התפקוד הפיזיקלי של הילדים ומתבצע מעקב אחר פרמטרים שונים בדם ותופעות לוואי. המשתתפים מגיעים לביקורי מעקב כל 3 חודשים במהלך השנה הראשונה של המחקר וכל חצי שנה בהמשך.

