

ATALUREN (TRANSLARNA®)

PTC Therapeutic

Long-Term Outcomes of Ataluren in Duchenne Muscular Dystrophy

שלב 3. פעיל סיים גיוס

תקציר

התרופה מיועדת לטיפול בחולי דושן עם מוטציית פסק, התרופה Ataluren 'עוקפת' את המוטציה ועל ידי כך מאפשרת היווצרות של חלבון דיסטרופין. זהו מחקר רנדומלי, כפול סמיות המשווה בין תרופת המחקר לפלצבו (ביחס של 1:1) מחקר ההמשך יהיה בתווית פתוחה. המשתתפים - בני 5 שנים ומעלה עם יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע. התרופה תינתן דרך הפה 3 פעמים ביום. משך המחקר יהיה 72 שבועות ו 72 שבועות נוספים במחקר ההמשך. המדד העיקרי שיוערך יהיה השינוי בציון מבחן 6 דקות הליכה.

A Phase 3, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Efficacy and Safety Study of Ataluren in Patients With Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy and Open-Label Extension	שם המחקר
ארצות הברית, אוסטרליה, בולגריה, הודו, הונג קונג, טאיוואן, יפן, מלזיה, קוראה, רוסיה	מתקיים ב
טיפול בחולי דושן עם מוטציית פסק, Nonsense Mutation Dystrophinopath	אסטרטגיית טיפול
שם המסחרי טראנסלרנה (™Translarna)	שמות נוספים לתרופה
באוגוסט 2014 מנהל התרופות האירופי EMA העניק לחברה אישור מותנה לשיווק התרופה לטיפול בחולי דושן מתהלכים ומעל גיל 5 שנים.	סטטוס התרופה
התרופה Ataluren 'עוקפת' את המוטציה ועל ידי כך מאפשרת היווצרות של חלבון דיסטרופין	מהות הטיפול
לבחון את השפעת התרופה ataluren לטווח הרחוק על התקדמות המחלה	מטרת המחקר
מגדר	אוכלוסיית המחקר
בנים	



גיל	5 שנים ומעלה	
טיפול בסטרואידים	כן, לקיחת סטרואידים (prednisone/prednisolone or deflazacort) למשך של לפחות 12 חודשים ובמינון קבוע ב 3 חודשים טרם הכניסה למחקר	
יכולת אמבולטורית	כן	
מספר משוער של משתתפים	250	
הכללה	<ol style="list-style-type: none"> בנים, גיל 5 ומעלה הוכחה גנטית למחלת דושן בפנוטיפ של מוטציה מסוג Nonsense point לקיחת סטרואידים (prednisone/prednisolone or deflazacort) למשך של לפחות 12 חודשים ובמינון קבוע 3 חודשים טרם הכניסה למחקר מרחק הליכה במבחן 6 דקות הליכה ≤ 150 מטר יכולת ביצוע מבחן פונקציונאלי (timed function tests) ב 30 שניות יכולת ורצון לשיתוף פעולה בפרוטוקול המחקר 	קריטריונים להכללה ואי הכללה
אי הכללה	<ol style="list-style-type: none"> שינוי בטיפול לקרדיו-מיופתיה בטווח של חודש טרם קבלת תרופת המחקר מתן טיפול אנטיביוטי קבוע מתמשך של aminoglycoside או vancomycin therapy דרך הוריד טיפול קודם או נוכחי ב ataluren רגישות לאחד ממרכיבי התרופה חשיפה לתרופת מחקר אחרת בטווח של 6 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר הנוכחית או השתתפות במחקר התערבות ניתוח משמעותי בטווח של 12 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר או ניתוח מתוכנן בטווח של 72 השבועות של המחקר צורך בתמיכה נשימתית ביום או שימוש בהנשמה דרך טרכאוסטומיה סימפטומים קליניים לאי ספיקת לב לא יציבה רמות גבוהות בסרום של creatinine או cystatin C בהערכת הסקרינינג של המחקר 	



<p>9. שינוי בטיפול לקרדיו-מיופתיה בטווח של חודש טרם קבלת תרופת המחקר</p> <p>10. מתן טיפול אנטיביוטי קבוע מתמשך של aminoglycoside או vancomycin therapy דרך הוריד</p> <p>11. טיפול קודם או נוכחי ב ataluren</p> <p>12. רגישות לאחד ממרכיבי התרופה</p> <p>13. חשיפה לתרופת מחקר אחרת בטווח של 6 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר הנוכחית או השתתפות במחקר התערבות</p> <p>14. ניתוח משמעותי בטווח של 12 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר או ניתוח מתוכנן בטווח של 72 השבועות של המחקר</p> <p>15. צורך בתמיכה נשימתית ביום או שימוש בהנשמה דרך טרכאוסטומיה</p> <p>16. סימפטומים קליניים לאי ספיקת לב לא יציבה</p> <p>17. רמות גבוהות בסרום של creatinine או cystatin C בהערכת הסקרינינג של המחקר</p>	<p>אי הכללה</p>	
<p>מחקר רנדומלי, כפול סמיות המשווה בין תרופת המחקר לפלצבו במחקר ההמשך יהיה בתווית פתוחה</p>	<p>סוג המחקר</p>	<p>תיאור המחקר</p>
<p>הנבדקים במחקר יוחלקו לשתי קבוצות ביחס של 1:1- קבוצה אחת תקבל את תרופת המחקר Ataluren במינון של 10 ו- 20 מ"ג לק"ג, קבוצה שניה פלצבו</p>	<p>קבוצות המחקר</p>	
<p>התרופה תילקח דרך הפה, שלוש פעמים ביום- בבוקר, צהריים וערב</p>	<p>דרך מתן התרופה</p>	
<p>המחקר יהיה בעל שני חלקים- 1. מחקר בתווית סגורה (רנדומלי) למשל 72 שבועות 2. מחקר המשך בתווית פתוחה ל 72 שבועות נוספים 3. סה"כ 144 שבועות</p>	<p>משך המחקר</p>	
<p>עקומת השינוי במבחן 6 דקות הליכה בשבוע 72</p>	<p>מדדי תוצאה עיקרים</p>	<p>מדדי התוצאה</p>
<p>מדדי התוצאה יחושבו ע"פ ההבדל בין הבדיקה בשבוע 72 לנקודת ההתחלה של המחקר ויכללו- שינוי במבחן 6 דקות הליכה 1. שינוי בזמן הליכה/ ריצה ל 10 מטר</p>	<p>מדדים משניים</p>	



<p>2. שינוי בזמן עליית 4 מדרגות</p> <p>3. שינוי בזמן ירידת 4 מדרגות</p> <p>4. שינוי בתוצאת מבחן הניידות North Start Ambulatory Assessment (NSAA)</p> <p>5. הזמן עד לאיבוד יכולת הליכה</p> <p>6. הזמן עד לאיבוד יכולת עלייה במדרגות</p> <p>7. הזמן עד לאיבוד יכולת ירידה במדרגות</p> <p>8. הסיכון לאיבוד יכולת ביצוע תפקודים מתוך מבחן NSAA</p> <p>9. מספר תופעות הלוואי הקשורות בתרופת המחקר</p> <p>בחלקו הראשון של המחקר, בתווית סגורה, הערכות יבוצעו בביקור במרפאה אחת ל 12 שבועות. במחקר ההמשך בתווית הפתוחה יבוצעו הערכות אחת ל 24 שבועות</p>		
---	--	--

[למידע נוסף](#) אודות המחקר באתר בינלאומי למחקרים קליניים

A Study to Evaluate the Safety and Pharmacokinetics of Ataluren in Participants From ≥ 6 Months to < 2 Years of Age With Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy (nmDMD)

מחקר שלב 2, לפני גיוס

מטרת המחקר זה היא לבדוק את בטיחות, סבילות ופרמוקינטיקה ('התנהגות') התרופה ataluren בילדים צעירים סוג המחקר- מחקר בתווית פתוחה משתתפים- במחקר ישתתפו 6 נבדקים הגדולים מגיל חצי שנה וקטנים מגיל שנתיים בעלי מוטציה מסוג nonsense מאפיינים נוספים להכללה יהיו- משקל נמוך או שווה ל 7.5 ק"ג, מצב בריאותי ובדיקות מעבדה תקינות מתן התרופה- התרופה תינתן דרך הפה באופן יומי במינונים של 10, 10 ו-20 מ"ג לק"ג (בוקר, צהרים וערב בהתאם) משך המחקר יהיה 52 שבועות מדדי התוצאה העיקריים יכללו תופעות לוואי. מדדים משניים יכללו מצבי ריכוז שונים של התרופה בגוף

[למידע נוסף](#) אודות המחקר באתר בינלאומי למחקרים קליניים



A Study to Assess Dystrophin Levels in Participants With Nonsense Mutation Duchenne Muscular Dystrophy (nmDMD)

שלב 2, הושלם

מטרת מחקר זה הייתה להעריך את יכולתה של התרופה ataluren להעלות את רמות הדיסטרופין בתאי השריר סוג המחקר- מחקר בתווית פתוחה משתתפים- במחקר השתתפו 20 נבדקים חולי דושן עם מוטציה מסוג nonsense בגילאי 7-2 שנים, שנתנו את הסכמתם ומסוגלים להשתתף במחקר (כולל הסכמה לביצוע ביופסיה של שריר). מתן התרופה- התרופה ניתנה דרך הפה באופן יומי במינונים של 10, 10 ו-20 מ"ג לק"ג (בוקר, צהרים וערב בהתאם) משך המחקר היה 40 שבועות מדדי התוצאה- הממד העיקרי היה השינוי ברמות הדיסטרופין בביופסיית שריר כפי שנמדדו בשיטת electrochemiluminescence (ECL). מדד משני היה בשינוי ברמות הדיסטרופין בביופסיית שריר כפי שנמדד בצביעה בשיטה אימונוהיסטוכימית (Immunohistochemistry Assay)- לאחר 40 שבועות של טיפול.

[למידע מפורט](#) אודות המחקר באתר הבינלאומי למחקרים קליניים

