

## VILTEPSO (RACER53)

NS Pharma

שלב 3. מגייס

### Study to Assess the Efficacy and Safety of Viltolarsen in Ambulant Boys With DMD (RACER53)

תקציר-

התרופה מיועדת לדילוג על חסר באקסון, החומר הפעיל נקשר לאקסון 53 ובכך מאפשר חיבור בין שני קצות החסר והיווצרות של חלבון דיסטרופין מקוצר. זהו מחקר רנדומלי סמוי המשווה בין תרופת המחקר לקבוצת ביקורת שתטופל בפלצבו. המשתתפים- בנים בני 4-7 עם יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע התרופה תינתן בעירוי תוך ורידי בתדירות שבועית. משך המחקר יהיה 48 שבועות המדד העיקרי שיוערך יהיה זמן במבחן קימה לעמידה (Time to Stand Test (TTSTAND)

A Phase 3 Randomized, Double-blind, Placebo-controlled, Multi-center Study to Assess the Efficacy and Safety of Viltolarsen in Ambulant Boys With Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)	שם המחקר
ארה"ב	מתקיים ב
Exon skipping 53	אסטרטגיית טיפול
NS-065/NCNP-01	שמות נוספים לתרופה?
התרופה מתאימה לחולי דושן עם אבחון גנטי המתאים לדילוג על אקסון 53. החומר הפעיל נקשר לאקסון 53 ובכך מאפשר חיבור בין שני קצות החסר והיווצרות של חלבון דיסטרופין מקוצר. מוטציות חסר אפשריות המתאימות לדילוג על אקסון 53 (אך אינן מוגבלות ל): 42-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52, 54-58	מהות הטיפול
להעריך את בטיחותה ויעילותה של התרופה Viltolarsen בהשוואה לפלצבו בחולים אמבולטורים עם דושן בעלי מוטציה המתאימה לאסטרטגיית טיפול בדילוג על אקסון 53	מטרת המחקר



מגדר	בנים	אוכלוסיית המחקר
גיל	4-7	אוכלוסיית המחקר
טיפול בסטרואידים	כן	
יכולת אמבולטורית	כן	
מספר משוער של משתתפים	74	
הכללה	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. בנים הגדולים מגיל 4 שנים וקטנים מגיל 8 שנים</li> <li>2. בעלי אבחנה גנטית מוכחת לדושן עם מוטציה המתאימה לטיפול בדילוג על אקסון 53</li> <li>3. בעלי יכולת ניידות עצמאית ללא אביזר עזר</li> <li>4. תוצאת זמן במבחן קימה לעמידה קטנה מ 10 שניות</li> <li>5. נטילת סטרואידים במינון קבוע לפחות 3 חודשים טרם הכניסה למחקר וצפויים להישאר במינון יציב גם למשך המחקר</li> </ol>	
אי הכללה	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. זהום ויראלי או פטרייתי נוכחי או בעבר</li> <li>2. מחלה אקוטית 4 שבועות טרם קבלת תרופת המחקר</li> <li>3. קרדיומיופטיה סימפטומטית</li> <li>4. רגישות לתרופת המחקר או לאחד ממרכיביה</li> <li>5. בעיות קוגניטיביות ו/או התנהגותיות חמורות שלדעת החוקר יפריעו להשתתפות במחקר</li> <li>6. מצב רפואי נוכחי או בעבר ו/או ממצאים אבנורמליים בבדיקה פיזיקלית או בבדיקות מעבדה היכולים לדעת החוקר להשפיע על בטיחות המטופל, יפגעו בהשלמת הטיפול, המעקב ותוצאות המחקר</li> <li>7. ניתוח ב 3 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר או ניתוח מתוכנן לזמן תקופת המחקר</li> <li>8. תוצאות חיוביות לנוגדנים לצהבת (הפטיטיס) מסוג B, C או HIV</li> <li>9. קבלת תרופת מחקר בזמן הכניסה למחקר או 3 חודשים טרם קבלת כניסה או ע"פ זמן ספציפי מוגדר של פינוי מהגוף לאחר סיום נטילה</li> <li>10. השתתפות במחקר קודם בתרופת viltolarsen</li> <li>11. טיפול בתרופה אחרת מסוג 'דילוג על אקסון' (exon skipping) בזמן או בטווח של 3 חודשים טרם קבלת תרופת המחקר</li> <li>12. קבלת טיפול גנטי כלשהו</li> </ol>	קריטריונים להכללה ואי הכללה להשתתפות במחקר



מחקר רב מרכזי, רנדומלי, כפול סמיות	סוג המחקר	תיאור המחקר
2 קבוצות מחקר: - קבוצה שתקבל את תרופת המחקר viltolarsen (80 מ"ג/ לק"ג) - קבוצה שתקבל פלצבו	קבוצות המחקר	
עירו ורידי בתדירות של אחת לשבוע, משך מתן העירו כשעה	דרך מתן התרופה	
48 שבועות	משך המחקר	
זמן במבחן קימה לעמידה (TTSTAND) Time to Stand Test	מדדי תוצאה עיקרים	
1. שינוי בזמן מבחן הליכה/ ריצה 10 מטר 2. שינוי במרחק הליכה במבחן 6 דקות הליכה 3. ציון במבחן תפקודי מוטורי (NSAA) North Star Ambulatory Assessment 4. שינוי בזמן עליית 4 מדרגות (TTCLIMB) Time to Climb 4 Steps Test 5. שינוי בבדיקת כוח שרירים עליונה בבדיקת Hand-held dynamometer	מדדים משניים	
בטיחות תוערך ע"י דיווח על תופעות לוואי, בדיקות מעבדה, בדיקת סימנים חיוניים, בדיקת א.ק.ג, בדיקת פיזיקלית ובדיקות דם להערכת הפרמוקנטיקה של התרופה	בטיחות	

### תוצאות מחקרים קודמים-

**במחקר שלב 2** להערכת בטיחות, סבילות ויעילות התרופה בחולי דושן אמבולטוריים נמצאו התוצאות הבאות:  
בטיחות-

- תופעות לוואי שהופיעו כללו זיהום בדרכי נשימה עליונות, שיעול, חם ורגישות באזור מתן העירו.
- לא הופיעו תופעות לוואי חמורות ו/או כאלו שקשורות בתרופת המחקר יעילות-

ביטוי דיסטרופין בשריר: לאחר כ 24 שבועות ראו עלייה של ביטוי הדיסטרופין לכדי 5.9% מנורמה לעומת 0.6% לפני מתן תרופת המחקר. כמו כן, ראו עלייה בכמות סיבי השריר שהיו חיוביים לדיסטרופין.

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

[למידע אודות המחקר באתר החברה ובהרצאה ביוטיוב](#)

