

ALT1102

Antisense Therapeutics

שלב 2. הושלם

תקציר-

התרופה מיועדת להורדת דלקת. זהו מחקר בתווית פתוחה עם קבוצת מחקר אחת שתקבל את התרופה. המשתתפים- בני 10-18, ללא יכולת אמבולטורית, יכולים להיות עם או ללא טיפול בסטרואידים. התרופה תינתן בהזרקה תת עורית, פעם בשבוע. משך המחקר 24 שבועות. המדד העיקרי יהיה בטיחות-מעקב אחרי תופעות לוואי. כמו כן, יערכו בדיקות מעבדה לתפקודי כבד וקרישה.

תוצאות

בטיחות-

- לא היו תופעות לוואי חמורות SAE
- אף נבדק לא הפסיק את השתתפותו במחקר
- רב תופעות הלוואי האחרות היו קלות וכללו אירועים סביב אזור ההזרקה כמו נפיחות ואדמומיות, ב 2 נבדקים היו תופעות לוואי בדרגת חומרה בינונית וב-3 חמורה.

יעילות-

- נצפתה ירידה ברמות הלימפוציטים כולל תאי T בשבוע 24 (מתן מינון אחרון). יש לציין כי בשבוע 28, בהעדר הטיפול, הופיעה עלייה ניכרת חזרה ברמות אלו.
- בבדיקות כוח השרירים והתפקוד הושג שיפור או האטה במידת הירידה לעומת הצפוי מתוך הספרות
- ציון PUL עלה ב-7 מתוך 9 נבדקים
- ב MRI נראתה התייצבות ברקמת השומן ורקמת השריר לעומת הצפוי. תוצאה זו הייתה גם כן בקורלציה לשיפור/ האטה בירידה בכוח השריר.
- תפקודי נשימה- שיפור קל ב PEF והאטה בירידה ב FVC.
- בשאלון איכות החיים ראו שיפור בכל המדדים כאשר השאלון מולא ע"י המתבגרים עצמם. בשאלונים שמולאו ע"י ההורים היה שיפור בחלקים של תפקוד יומיומי ובטיפול וירידה בציון בתחומי התקשורת ורמת הדאגה.

