עמותת "צעדים קטנים" רח' טשרניחובסקי 24 כפר-סבא, 4427112 טלפון: 054-6345634, פקס: 09-7679660

CAP-1002 (HOPE-2)

Capricor

שלב 2. הושלם

A Study of CAP-1002 in Ambulatory and Non-Ambulatory Patients With Duchenne Muscular Dystrophy (HOPE-2)

תקציר מחקר שלב 2

התרופה מיועדת למנוע ולשפר נזקים הנגרמים מהעדר חלבון דיסטרופין בשרירי השלד והלב. לתרופה השפעה גם על מערכת החיסון, הפחתת דלקת ופיברוזיס. החומר הפעיל CAP-1002 מכיל בתוכו תאי גזע המשחררים אקסוזומים (בועות זעירות) המגיעים לתאים שונים בגוף. זהו מחקר רנדומלי סמוי שישווה את הטיפול בתרופה לקבוצת פלצבו (ביחס של 1:1). קבוצת הפלצבו תוכל לקבל את תרופת המחקר לאחר כשנה במסגרת מחקר המשך. המשתתפים- בנים בני 10 שנים ומעלה, עם/ ללא יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע התרופה תינתן בעירוי תוך ורידי אחת ל-3 חודשים, סה"כ 4 פעמים. משך המחקר שנה. המדד העיקרי שיוערך יהיה שינוי במבחן תפקוד לגפה עליונה (PUL).

תוצאות

בטיחות-

- בסה"כ המחקר נמצא בטוח
- היו תופעות לוואי שכללו אלרגיה כולל 2 חמורות בתגובה זו (SAE)

יעילות-

- נצפתה ירידה קטנה יותר משמעותית בציון PUL (הפרש של 2.4 לעומת קבוצת פלצבו)
- תפקוד לבבי- ירידה של פחות מ 1% ב left ventricular fraction לעומת כ 2% בקבוצת הפלצבו. כמו כן, נצפה שיפור בנפחים בסוף הדיאסטולה והסיסטולה לעומת קבוצת הפלצבו
- ירידה ברמות CKMB (ביו מרקרים של שריר הלב)
- תפקוד נשמתי- שיפור בבדיקות inspiratory flow reserve ו- predicted PEF % לעומת קבוצת הפלצבו.

עמותת "צעדים קטנים" רח' טשרניחובסקי 24 כפר-סבא, 4427112 טלפון: 054-6345634, פקס: 09-7679660

תוצאות מחקרים קודמים

CAP-1002 (HOPE), **שלב 1/2**

מטרת המחקר מטרתו של המחקר הייתה לבחון את הבטיחות והיעילות ההתחלתית של טיפול בודד ב-CAT-1002 מול קבוצת פלסבו (יחס 1:1). הטיפול ניתן בצורת עירוי ישיר לוריד לבבי ראשי.

מי השתתף במחקר- במחקר השתתפו 25 מטופלים בגילאי 12 עד 22 שנים המאובחנים עם דושן וקרדיומיופטיה משמעותית (נוכחות רקמת צלקת ב-4 אזורים של החדר השמאלי של הלב לפחות). המשתתפים היו תחת טיפול סטרואידים באופן קבוע 6 חודשים לפחות לפני תחילת המחקר.

תיאור המחקר

המחקר נערך בתווית פתוחה בתחילתו מחצית מהמטופלים, קיבלו עירוי חד פעמי של הטיפול התאי. במהלך המחקר נבדקו תופעות לוואי והשפעות הטיפול על כמות הצלקת בתוך הלב המוערכת ע"י בדיקות MRI, שינוי ברמת התנועתיות של המטופלים, תפקודי ריאות, ופרופיל ביו-מרקרים בדם.

תוצאות

לפי התוצאות שנמדדו במהלך 12 חודשים לאחר הטיפול נצפתה ירידה בכמות הצלקת לבבית ועליה בתנועתיות הידיים (מבחן PUL)

למידע אודות מחקר שלב 1/2 באתר בינלאומי של מחקרים קליניים