

Gvinostat

Italfarmaco

חולי בקר אמבולטוריים. שלב 2. פעיל, סיים גיוס

Clinical Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Gvinostat in Ambulant Patients With Becker Muscular Dystrophy

תקציר-

התרופה מיועדת לשיפור התחדשות תאי שריר ולהפחתת הדלקת והתפשטות הפיברוזיס בשרירים. זהו מחקר רנדומלי, סמוי שישווה את הטיפול בתרופה לפלצבו (יחס 2:1). המשתתפים- בני 18-65, בעלי יכולת אמבולטורית הנוטלים סטרואידים באופן קבוע. התרופה תינתן בתמיסה דרך הפה פעמיים ביום. משך המחקר שנה. המדד העיקרי שיוערך יהיה השינוי בגודל חתך הרוחב של השריר.

A Randomised, Double Blind, Placebo Controlled Study to Evaluate the Micro-macroscopic Effects on Muscles, the Safety and Tolerability, and the Efficacy of Gvinostat in Patients With Becker Muscular Dystrophy (BMD)		שם המחקר	
איטליה והולנד		מתקיים ב	
שימור ושיפור מצב השריר ותפקודו		אסטרטגיית טיפול	
החומר Gvinostat מעכב את אנזימי ה-HDAC הפועלים באופן מוגבר במחלות ניווניות וגורמים לשיבוש בתהליכי ההתחדשות התאית. התרופה עשויה להגביר את הייצור של סיבי השריר החדשים. בנוסף, ה-Gvinostat עשוי להפחית את הדלקת ואת התפשטות הפיברוזיס בשרירים		מהות הטיפול	
לבחון את היעילות, הסבילות והבטיחות והשפעתה של התרופה Gvinostat על השריר בחולים עם בקר		מטרת המחקר	
בנים	מגדר	אוכלוסיית המחקר	
18-65	גיל		
כן, באופן קבוע לפחות 6 חודשים	טיפול בסטרואידים		
כן	יכולת אמבולטורית		
48	מספר משוער של משתתפים		



<ol style="list-style-type: none"> 1. חולים אמבולטוריים עם אבחנה גנטית מוכחת לבקר 2. בעלי רצון ויכולת לחתום על הסכמה מדעת 3. יכולים לבצע מבחן 6 דקות הליכה עם תוצאת מרחק מינימלי של 200 מטר ומקסימלי של 450 מטר 4. תחת טיפול סטרואידים ו/או טיפול לבבי קבוע לפחות 6 חודשים לפני הכניסה למחקר ובמינון קבוע 5. מוכנים להשתמש באמצעי מניעה להריון מהתחלת המחקר ועד 3 חודשים לאחר קבלת מינון אחרון של תרופה 	הכללה	קריטריונים ההכללה ואי הכללה
<ol style="list-style-type: none"> 1. חשיפה לתרופת מחקר אחרת בזמן של 3 חודשים לפני הכניסה למחקר 2. שימוש בתרופה אחרת שאינה סטרואידים ובעלת פוטנציאל להשפעה על התפקוד השרירי בטווח של 3 חודשים טרם התחלת המחקר כגון הורמון גדילה. 3. ויטמין D, קלציום ותכשירים אחרים יורשו. 4. ניתוח היכול להשפיע על כוח ותפקוד השריר בזמן של 3 חודשים לפני המחקר או צפוי להיות במהלכו 5. נוכחות מחלה שלחווה דעתו של החוקר יכולה לפגוע בבטיחותו של הנבדק, במהלך המעקב והערכת התוצאות של המחקר 6. אבחנה נירולוגית או סומטית אחרת מדושן שאינה בקר 7. ספירת טסיות, כדוריות דם לבנות והמוגלובין לא תקינה 8. קרדיומיופתייה סימפטומטית, כשל לבבי או left ventricular ejection fraction הקטן מ 50 אחוז 9. מחלה או ליקוי בתפקודי כבד 10. תפקודי כליות לקויים 11. בדיקה חיובית להפטיטיס B, C או HIV 12. בעיות לבביות כגון QTcF גדול מ 450 מילישניות או היסטוריה של גורמי סיכון להפרעה לבבית מסוג torsades de pointes (טכיקארדיה חדרית) 13. מחלה פסיכיאטרית או מצב סוציאלי העלול לפגוע ביכולת להבין ולעמוד בבדיקות השריר בפרט ובפרוטוקול המחקר ככלל 14. אלרגיה ידועה לתרופה givinostat או אחד ממרכיביה 15. אי סבילות ל sorbitol malabsorption (סוכר) או לפרוקטוז 16. קונטרה אינדיקציה לביצוע ביופסיית שריר 17. קונטרה אינדיקציה לביצוע בדיקת MRI או MRS לדג' פרוכוסים וקלסטרופוביה 18. רמות טריגליצרידים גבוהות. אם המטופל מקבל טיפול קבוע ויציב במשך 6 חודשים ורמות הטריגליצרידים שלו יציבות הוא יוכל להיכלל במחקר 	אי הכללה	



תיאור המחקר	סוג המחקר	מחקר
מחקר רנדומלי, כפול סמיות, מבוקר כולל קבוצת פלצבו	קבוצות המחקר	הנבדקים יחולקו ביחס של 2:1 לתרופת המחקר ופלצבו
קבוצות התרופה	דרך מתן התרופה	בתמיסה דרך הפה פעמיים ביום, בזמן אוכל.
מדידת תוצאה עיקרית	מדידת תוצאה עיקרית	משך המחקר 12 חודשים
<p>ממוצע השינוי בחתך הרוחב של השריר change in mean Cross Sectional Area (CSA) בהשוואה לתוצאה בקבוצת הפלצבו לאחר 12 חודשי טיפול</p> <p>לאחר 12 חודשים תבחן מידת השינוי מנקודת הבסיס במדדים המפורטים מטה ותשווה לשינוי בקבוצת הפלצבו</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. כמות יחסית של רקמת השומן בפלג גוף תחתון 2. חתך הרוחב (CSA) של שרירים בפלג גוף תחתון 3. מרכיבים הסטולוגים אחרים בשריר כמו הרכב רקמת שריר ופיברוזיס ע"פ ביופסיית השריר 4. מבחן לתפקוד מוטורי (MFM) Motor Function Measurement 5. מבחן הליכה ל-6 דקות 6. יחס הנבדקים בהם חלה ירידה הקטנה-מ-10% בתוצאת מבחן 6 דקות הליכה בסוף תקופת המחקר 7. יחס הנבדקים שאיבדו את היכולת לקם מהרצפה באופן עצמאי 8. יחס הנבדקים שאיבדו את יכולת ההליכה בתקופת המחקר 9. כוח השריר, יישור ברך וכיפוף מרפק כפי שנמדד במכשיר מדידת כח ידני Hand Held Myometry (HHM) 10. איכות חיים – שאלון [SF36] Short Form survey 11. מספר המשתתפים שחוו תופעות לוואי ותופעות לוואי חמורות 12. סוג, שכיחות וחומרת תופעות הלוואי 13. מספר המשתתפים עם תוצאות אבנורמליות בבדיקות מעבדה 14. מספר המשתתפים עם תוצאות לא תקינות בבדיקה פיזיקלית 15. מבחן Time Function Test 	מדדים משניים	

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

[לצפייה בהרצאה](#) אודות המחקר מתוך כנס 2020

