Studie fáze 2 u chlapců s DMD ve věku od 6 do 10 let (mladší 10 let) (Identifikátor studie na ClinicalTrials.gov: NCT02310763)

O jako studii jde?

Jde o multicentrickou klinickou studii hodnotící bezpečnost, snášenlivost, účinnost, farmakokinetiku (co tělo dělá s lékem) a farmakodynamiku (co lék dělá s tělem) nové sloučeniny ve stádiu výzkumu PF-06252616 u cca. 105 chlapců s diagnózou DMD, kteří jsou schopni chůze a chůze do schodů. Studie by měla podpořit potenciální budoucí žádost o přihlášení nového léku u regulačních orgánů.

Co je PF-06252616?

PF-06252616 je experimentální monoklonální protilátka proti myostatinu. Myostatin v těle pomáhá regulovat růst svalů tím, že brání (blokuje) svalové diferenciaci a růstu. Blokování aktivity myostatinu může mít terapeutické využití v léčbě onemocnění jako DMD, spojených s úbytkem svalové hmoty. Na základě plánovaného mechanismu účinku má PF-06252616 potenciál zvyšovat množství svalové hmoty a zlepšovat svalovou funkci u chlapců s DMD, kteří jeví známky úbytku svalové hmoty. V preklinické fázi výzkumu bylo zvýšení svalové hmoty a zlepšení funkce prokázáno u myší a nehumánních primátů. Studie PF-06252616 fáze 1 u zdravých dospělých již proběhla a nyní připravuje zprávu s výsledky.

Kdo bude považován za způsobilého k účasti ve studii?

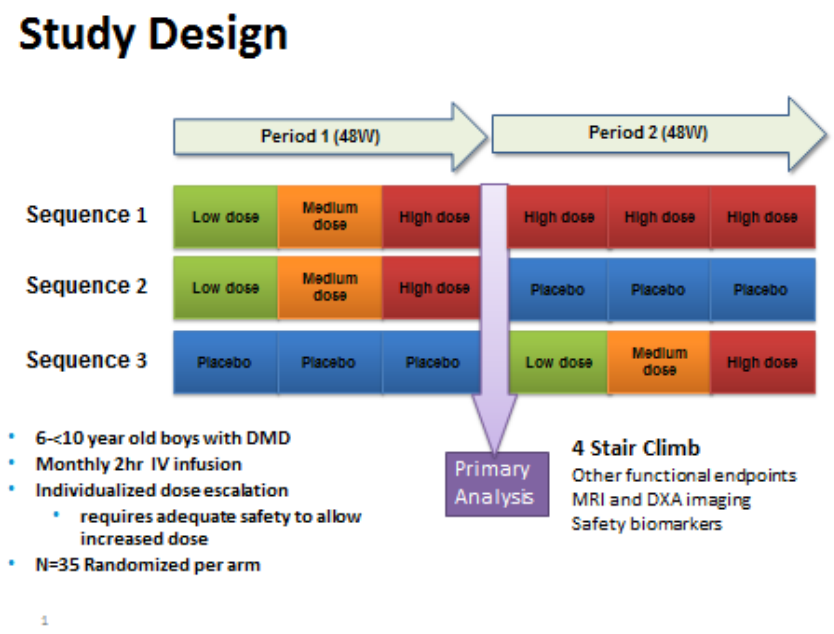
Chlapci, kteří mají diagnostikováno onemocnění DMD, věk od 6 ≤ 10 let, chodící. Diagnóza DMD musí být potvrzena v anamnéze pacienta a genetickými testy získanými během rutinní lékařské péče. Genetické testy se neprovádí v rámci studie. Způsobilí účastníci musí být na kortikosteroidech po dobu nejméně 6 měsíců před podpisem informovaného souhlasu se vstupem do studie. Způsobilí účastníci musí být schopni provést výstup do 4 schodů v čase ≥ 0,33 schod/vteřin < 1,6 schod/vteřin. V místě studie bude pro potvrzení způsobilosti probíhat další screeningové hodnocení.

Jaký je design studie a bude studie obsahovat větev s placebem?

Studie bude mít dvě období a v každém bude probíhat 48 týdnů. Na začátku budou chlapci randomizováni (náhodně rozděleni) do první ze tří skupin. První skupina obdrží lék v 1. období a zůstane na léku i ve 2. období studie. Druhá skupina také obdrží lék v 1. období, ale ve 2. období přejde na placebo. Třetí skupina dostane placebo v 1. období, lék pak ve 2. období studie. Studie bude zaslepena, aby účastníci, rodiny ani výzkumní pracovníci nevěděli, do které skupiny patří. Primární analýza bude vycházet z údajů získaných v 1. období. To umožní vědcům a výzkumníkům sledovat jak efekt zahájení a ukončení léčby, tak také efekt konstantní dlouhodobé expozice léčbě se stejnou dávkou léku. Je pravděpodobné, že lék bude z těl účastníků skupiny přecházejících na placebo vyplaven až po uplynutí dvou třetin druhého období. Účastníci skupiny s placebem mohou tedy být během období s placebem ještě vystaveni určitému působení léku.

Lék bude podáván formou dvouhodinové IV infuze každé 4 týdny. U každého účastníka se může dávka zvýšit vždy po uplynutí 16 týdnů v závislosti na tom, jak dobře je lék snášen a zda je bezpečný. Jsou-li pozorovány jakékoliv problémy v dané úrovni dávky, dávka buď nebude zvýšena, bude snížena nebo může být dávkování ukončeno.

Studie zahrnuje měsíční klinické kontroly, z nichž některé budou vyžadovat účast ve dvou po sobě jdoucích dnech, a dále řadu vyšetření MRI, časté testování síly, schopnosti chůze a výstupu do schodů. Veškeré přiměřené cestovní výdaje a náklady na ubytování budou hrazeny.



Překlad textů ve schématu:
Schéma designu studie

Nízká dávka
Střední dávka
Vysoká dávka

*Chlapci s DND ve věku od 6 do 10 let (mladší 10 let)
*Měsíčně dvě hodiny nitrožilní infúze
*Individuální zvyšování dávky
*Požadavek adekvátní bezpečnosti pro povolení vyšší dávky

Co se stane po skončení studie?

Pokud se v této studii fáze 2 prokáže bezpečnost a účinnost, mohou být subjekty, kteří studii dokončí, vyzváni k účasti v otevřené studii.

Kde studie probíhá?

Schválená studijní místa jsou v dětské nemocnici v Cincinnati (OH; Children´s Hospital Medical Center; Dr. Brenda Wong) a v centru pro genetická svalová onemocnění na Kennedy Krieger Institute při nemocnici Johns Hopkins v Baltimoru, MD (Dr. Kathryn Wagner). Očekává se, že se aktivně zapojí i další centra a zúčastní se studie v USA (MO, IA, CA, WA, MN, CO, TX, NC, UT, MA a FL), Kanadě, Evropě a Japonsku. Plánované otevření všech těchto lokalit je v roce 2015.

Potenciální účastníci nebudou upřednostňováni podle blízkosti jejich bydliště k danému centru studie. Je známo, že zápis představuje pro pacienty velkou výzvu, ale ve snaze o zachování konzistence a integrity dat z klinické studie, nebude přesun mezi lokalitami povolen.

Kam se mám obrátit, mám-li zájem o další informace o studii?

Většina aktuálních informací bude zveřejněna na stránkách ClinicalTrials.gov s možností kontaktovat pro další informace společnost Pfizer. Vezměte prosím na vědomí, že při žádosti o informace budete potřebovat identifikační číslo studie ClinicalTrails.gov. Více informací bude k dispozici také v průběhu studie. **Identifikátor studie na ClinicalTrials.gov: NCT02310763.**

Zdrojový text je přístupný přes odkaz na adrese: https://www.duchenneconnect.org/en/news/clincial-trial-news/701-pfizers-myostatin-inhibitor-phase-ii-trial-is-now-recruiting.html (Na této stránce zcela dole:To read Pfizer's Family-Friendly Fact Sheet on this trial, please click here.) Další informace o studii: https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02310763?term=PF-06252616&rank=2