

HOPE-3 : ادامه فاز 3 آزمایش از CAP-1002 در دیستروفی عضلانی دوشن

دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک، فلوشیپ پزشکی بازساختی

11 دسامبر 2023، SAN DIEGO

یک شرکت بیوتکنولوژی با تمرکز بر توسعه درمان های سلولی قابل تغییر و مبتنی بر اگزوزوم برای درمان و پیشگیری از بیماری های عضلانی و سایر بیماری های منتخب، امروز یک نتیجه مثبت برای HOPE-3، کارآزمایی اساسی فاز 3 که CAP-1002 را در بیماران مبتلا به دیستروفی عضلانی دوشن (DMD) ارزیابی می کند، اعلام کرد.

نتایج که توسط هیئت نظارت بر ایمنی داده ها (DSMB) بررسی شد، منجر به توصیه مطلوب برای ادامه آزمایش HOPE-3 شد.

این تحلیل اولین نقطه عطف را تحت توافقنامه تجاری سازی و توزیع ایالات متحده با شرکت Nippon Shinyaku، با مسئولیت محدود انجام می دهد.

دکتر Linda Marbán مدیر اجرایی Capricor، گفت: "ما از نتیجه مثبت بررسی DSMB که از پیشرفت مستمر کارآزمایی HOPE-3 ما، در جهت تایید احتمالی CAP-1002 برای درمان DMD حمایت می کند، خرسندیم."

ما معتقدیم که CAP-1002 ممکن است نیاز پزشکی برآورده نشده بالای این بیماران را برطرف کند. بر اساس این نقطه عطف مهم، ما درخواست جلسه ای

با سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) برای بحث بیشتر درباره گزینه ها برای بررسی و تایید سریع، خواهیم داشت.

درباره HOPE-3، فاز 3 آزمایشی

HOPE-3 یک کارآزمایی بالینی فاز 3 کنترل شده با دارو است که از دو گروه تشکیل شده است که ایمنی و اثربخشی CAP-1002 را در شرکت کنندگان مبتلا به DMD و دارای عملکرد مختل کننده ی عضلات اسکلتی، ارزیابی می کند.

پسرانی که معیارهای واجد شرایط بودن را دارند به طور تصادفی برای دریافت CAP-1002 یا دارو هر 3 ماه یکبار برای مجموع 4 دوز در طول 12 ماه اول مطالعه تقسیم می شوند. تقریباً 102 نفر از افراد واجد شرایط مطالعه در این مطالعه شرکت خواهند کرد.

ثبت نام برای گروه A تکمیل شده است که برای ثبت نام تقریباً 58 نفر به صورت تصادفی به CAP-1002 یا دارو در نسبت 1:1 طراحی شده است.

ثبت نام برای گروه B آغاز شده است که برای ثبت نام تقریباً 44 شرکت کننده به صورت تصادفی به CAP-1002 یا دارونما در نسبت 1:1 طراحی شده است.

هدف گروه B حمایت از گنجاندن سایت ما در سن دیگو پس از ثبت نام اولیه است.

تجزیه و تحلیل اولیه ی اثربخشی و ایمنی برای هر گروه در ماه 12 پس از 4 تجویز CAP-1002 انجام خواهد شد. معیار نتیجه اولیه، عملکرد اندام فوقانی (Performance of the UpperLimb) (PUL) خواهد بود، ابزاری معتبر که به طور خاص برای ارزیابی عملکرد بالا (شانه)، وسط (آرنج) و دیستال (مچ دست و دست) طراحی شده است، با یک چارچوب مفهومی که منعکس کننده پیشرفت ضعف در عملکرد اندام فوقانی است. HOPE-3 همچنین نقاط پایانی مختلف ثانویه از جمله ارزیابی عملکرد قلب را اندازه گیری می کند.

درباره دیستروفی عضلانی دوشن

دیستروفی عضلانی دوشن (DMD) یک اختلال ژنتیکی ویرانگر است که با ضعف پیشرونده و التهاب مزمن ماهیچه‌های اسکلتی، قلب و تنفسی مشخص می‌شود. بیماران مبتلا به DMD معمولاً توانایی راه رفتن خود را در سنین نوجوانی از دست می‌دهند و عموماً در سن 30 سالگی به دلیل عوارض قلبی یا تنفسی می‌میرند.

این بیماری تقریباً در یک مورد از هر 3600 تولد مرد زنده در همه نژادها، فرهنگ‌ها و کشورها رخ می‌دهد. DMD تقریباً 200000 پسر و مرد جوان را در سراسر جهان مبتلا می‌کند. گزینه‌های درمانی محدود است و هیچ درمانی وجود ندارد.

درباره CAP-1002

CAP-1002 متشکل از سلول‌های آلورژنیک مشتق از قلب (CDCs)، جمعیتی از سلول‌های استرومایی است که در مطالعات پیش‌بالینی و بالینی نشان داده شده است که اعمال سیستم ایمنی، ضد فیبروتیک و بازسازی‌کننده قوی در دیستروفینوپاتی و نارسایی قلبی دارند.

CDC ها با ترشح وزیکول‌های خارج سلولی به نام آگزوزوم عمل می‌کنند که ماکروفاژها را هدف قرار می‌دهند و بیان آنها را تغییر می‌دهند به طوری که آنها یک فنوتیپ شفابخش و نه پیش‌التهابی را اتخاذ می‌کنند.

CDCها موضوع بیش از 100 نشریه علمی بوده‌اند و در چندین کارآزمایی بالینی بر روی بیش از 200 مورد انسانی اجرا شده‌اند. CAP-1002 برای درمان DMD نام Orphan Drug را دریافت کرده است و مسیر نظارتی برای CAP-1002 از RMAT (تعیین درمان پیشرفته پزشکی بازساختی) پشتیبانی می‌شود.

درباره Capricor Therapeutics

یک شرکت بیوتکنولوژی است که بر توسعه سلول های قابل تغییر و درمان های مبتنی بر اگزوزوم، برای درمان و پیشگیری از بیماری های عضلانی و سایر بیماری های منتخب متمرکز است.

کاندید اصلی Capricor، CAP-1002، یک سلول درمانی مشتق شده از سلول های آلونژنیک قلب است که در حال حاضر در مراحل پایانی بالینی برای درمان دیستروفی عضلانی دوشن است.

Capricor همچنین در حال توسعه فناوری اگزوزوم خود به عنوان یک پلت فرم درمانی نسل بعدی است. پلتفرم اگزوزوم اختصاصی StealthX™ ما دارای پتانسیل طیف گسترده ای از کاربردهای درمانی جدید در زمینه واکسینولوژی و همچنین درمان های الیگونوکلوئوتیدی، پروتئینی و مولکول های کوچک برای درمان یا پیشگیری از انواع بیماری ها است.

<https://www.capricor.com/investors/news-events/press-releases/detail/267/capricor-therapeutics-announces-continuation-of-phase-3>