

Obtenga más información
sobre un ensayo clínico para
pacientes con distrofia muscular
de Duchenne susceptible
de omisión del exón 51

DYSTANCE > 51



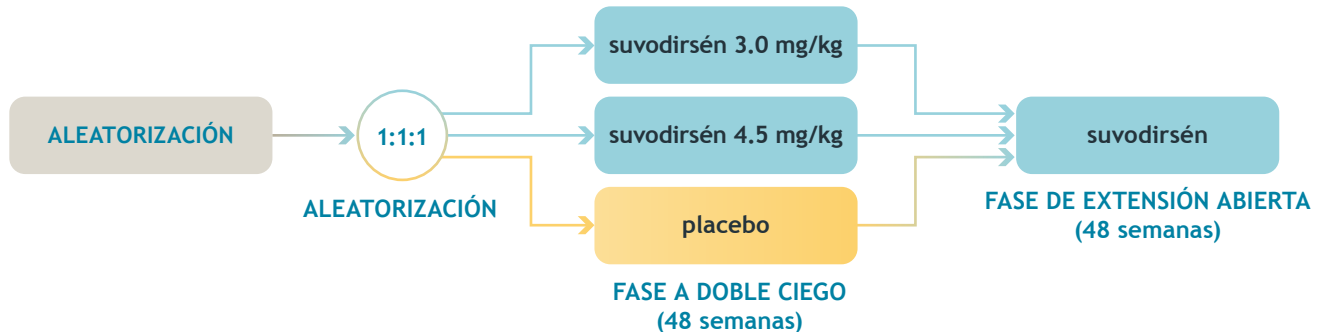
DYSTANCE>51

DYSTANCE 51 es un ensayo de fase 2/3, aleatorizado, a doble ciego, controlado con placebo, sobre la eficacia y la seguridad del suvodirsén en investigación en varones con distrofia muscular de Duchenne (DMD) susceptible de omisión del exón 51.

Diseño del ensayo

Se aleatorizarán hasta 150 pacientes para recibir una de dos dosis del suvodirsén o un placebo durante 48 semanas. Se le realizarán dos biopsias a cada paciente; una al inicio y otra en una visita de seguimiento.

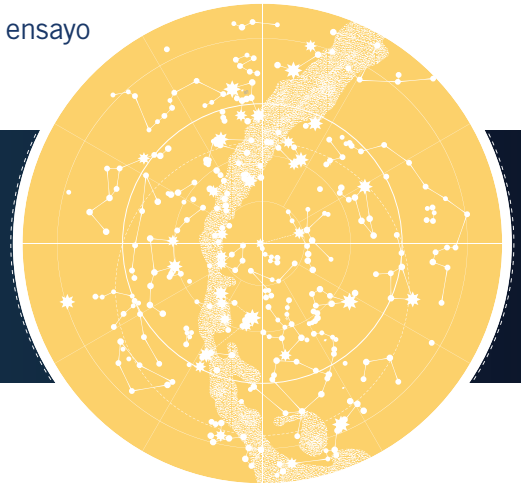
Después de 48 semanas de tratamiento en la fase a doble ciego, los pacientes pueden ser elegibles para continuar en la fase de extensión abierta (open-label extension, OLE) para recibir tratamiento con el suvodirsén.



Criterios primarios de elegibilidad

- Diagnóstico genéticamente confirmado de DMD susceptible de omisión del exón 51
- Varones de 5 a 12 años de edad (inclusive) al momento de la aleatorización
- Capacidad para caminar 10 metros o más de forma independiente en 10 segundos o menos
- Haber recibido terapia con corticosteroides durante al menos 6 meses, sin cambios en la dosis dentro de los 3 meses anteriores del ingreso al ensayo
- No haber recibido tratamiento previo con ninguno de los siguientes: drisapersén, terapia génica, o PPMO (un morfolino fosforodiamidato conjugado con péptido en investigación)
- Se permite el tratamiento previo con atalureno o eteplirsén después de un período de reposo farmacológico de 14 semanas antes del ingreso al ensayo

DYSTANCE 51 evaluará los niveles de distrofina, así como las mediciones funcionales, incluida la Evaluación ambulatoria North Star (NSAA), la fuerza proximal de las extremidades superiores y la función motora de las extremidades inferiores.





DYSTANCE>51

Para obtener más información

Visite ClinicalTrials.gov (número de identificación del ensayo NCT03907072) o contacte a Wave Life Sciences a través de clinicaltrials@wavelifesci.com.

WAVE[™]
LIFE SCIENCES

© 2019 Wave Life Sciences Ltd. Todos los derechos reservados.