

Onderzoek naar Givinostat bij niet-lopende jongens met Duchenne spierdystrofie

Jongens en jongvolwassen mannen met Duchenne spierdystrofie (DMD) die niet meer zelfstandig kunnen lopen, kunnen deelnemen aan het internationale ULYSSES-onderzoek naar het experimentele geneesmiddel Givinostat. Dit is een fase 3-studie waarin wordt onderzocht of Givinostat veilig en effectief is.

Voor wie?

Jongens en jongvolwassenen van 9 tot en met 17 jaar met DMD die rolstoel gebonden zijn.

Daarnaast zijn er nog een aantal voorwaarden waaraan deelnemers moeten voldoen. Hieronder staan een paar belangrijke voorbeelden:

- In staat om zelfstandig een beker naar de mond te brengen zonder het hoofd naar voren te bewegen ter compensatie.
- Geen gebruik van beademingsondersteuning overdag.
- Geen deelname aan een andere medicatiestudie in de afgelopen drie maanden.
- In staat om een MRI-onderzoek te ondergaan.

Doel van het onderzoek

Het onderzoek vergelijkt de werking van Givinostat met een placebo (een middel zonder werkzame stof). Givinostat is ontwikkeld om spiervezels te beschermen en spierherstel te bevorderen.

Opzet van het onderzoek

Deelnemers worden willekeurig toegewezen aan een dagelijkse behandeling met Givinostat of een placebo. Het onderzoek duurt in totaal ongeveer 21 maanden, bestaande uit:

- een screeningsperiode van 4 weken
- een behandelfase van 18 maanden
- een opvolgingsperiode van 4 weken

In totaal zijn er maximaal 14 onderzoek bezoeken.

Waar?

In Nederland wordt het onderzoek uitgevoerd in het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) en het Radboudumc, als onderdeel van het Duchenne Centrum NL.

Interesse in deelname?

Voor deelname gelden dus specifieke criteria. Wilt u weten of u in aanmerking komt of heeft u vragen? Neem dan contact op via: research@duchennecentrum.nl