



Overzicht klinische studies bij Duchenne Spierdystrofie in Nederland en België

De volgende klinische onderzoeken gaan starten of zijn gestart in Nederland en België:

Laatst bijgewerkt: 17-02-2026

ELEVATE-45 (door Entrade)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07038824?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=1>

Status: Fase I/II, inclusie van deelnemers gestart.

Therapeutische aanpak: Een experimenteel middel gericht op exon 45 skipping bij Duchenne muscular dystrophy. Het doel is om de veiligheid, tolerantie, farmacokinetiek en werkzaamheid te evalueren in een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde setting

Wie: Jongens met Duchenne (4-20 jaar oud, ambulant) met een mutatie die geschikt is voor exon 45 skipping.

Overzicht studie: Deel A bepaalt de veiligheid en beste dosis van het middel door meerdere doseringen te testen. Deel B onderzoekt de veiligheid en werkzaamheid van de gekozen dosis vergeleken met placebo. Deelnemers krijgen meerdere intraveneuze infusies en regelmatige klinische controles.

Duur deelname: onbekend

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden. RadboudUMC in Nijmegen

Testlocaties België: UH Gent, UZ Leuven, Centre Hospitalier Régional de la Citadelle in Liège.

PACT-onderzoek (door Duchenne Centrum Nederland)

<https://duchenneexpertisecentrum.nl/research/pact-onderzoek-bij-duchenne/>

Status: Inclusie gestart

Therapeutische aanpak: Observationeel en participatief onderzoek

gericht op het in kaart brengen van fysieke activiteit bij jongeren met Duchenne spierdystrofie (DMD). De studie combineert objectieve dagelijkse activiteitsmetingen met vragenlijsten en groepsgesprekken om te begrijpen hoe bewegen, welzijn en klinische metingen samenhangen, en hoe bewegen leuker en haalbaar kan worden gemaakt voor deze groep.

Wie: Jongeren met Duchenne, 6-18 jaar

Overzicht studie: De studie bestaat uit 2 onderdelen. 1: deelnemers dragen een activiteiten-tracker (bv horloge) en vullen een beweegdagboek in gedurende 3 weken. Ouders/verzorgers vullen vragenlijsten in over de activiteit van de jongere. 2: groepsgesprekken om ervaringen en voorkeuren uit te spreken. Op basis hiervan wordt een beweegprogramma ontworpen.

Duur deelname: 3 weken

Testlocaties Nederland: LUMC Leiden

Hoestmachine (door UMC Utrecht)

Status: Inclusie gestart

Therapeutische aanpak: Landelijke prospectieve studie waarbij twee soorten luchtweg-clearing technieken worden vergeleken bij Duchenne patiënten om te bepalen welke het meest effectief is in het voorkomen van luchtweginfecties door het verbeteren van de sputumevacuatie: Airstacken en de hoestmachine.

Wie: Mannen met Duchenne die een verminderde hoestkracht hebben en voor wie luchtwegbeheer relevant is

Overzicht studie: In deze studie worden deelnemers willekeurig ingedeeld in een groep die twee keer per dag een hoestmachine gebruikt of een groep die twee keer per dag air stacken toepast. Het doel is te onderzoeken welke methode effectiever is in het verminderen van luchtweginfecties. Deelnemers worden gedurende twee jaar gevolgd via vragenlijsten, een dagboek over gebruik en klachten, registratie van infecties en driemaandelijke telefonische opvolging, grotendeels aansluitend bij reguliere controles.

Duur deelname: 2 jaar

Testlocaties Nederland: UMC Utrecht, Groningen, Maastricht, Rotterdam

Testlocaties België:

Givinostat (door Italfarmaco)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06769633?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=2>

Status: Fase II, inclusie van deelnemers gestart.

Therapeutische aanpak: Verbetering van spiergroei en -bescherming.

Dit is een open-label studie naar de veiligheid, tolerantie en werkzaamheid van Givinostat bij jonge patiënten.

Wie: Jongens met Duchenne (2-6 jaar).

Overzicht studie: De studie zal beginnen met een cohort van 4 tot 6 jarige jongens om de veiligheid van givinostat in jonge jongens te bepalen. Hierna zal een cohort van 2 tot 4 jarige vergelijkbare testen ondergaan. Givinostat is een 'HDAC-remmer' dat zogenoemde HDAC (histone deacetylases) enzymen blokkeert. Deze enzymen zijn betrokken bij het 'aan- en uitzetten' van genen en kunnen de spierversnieuwing bij Duchenne verminderen. Door het remmen van de HDAC-activiteit wordt het aangenomen dat Givinostat kan helpen om de spierherstelmechanismen te activeren om de vernieuwing van spiervezels te verhogen en ontstekingen en fibrose te verminderen.

Duur deelname: 48-96 weken

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden.

Testlocaties België: Queen Fabiola Children's University Hospital in Brussel.

Givinostat (door Italfarmaco)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05933057?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=6>

Status: Fase III, inclusie van deelnemers gestart

Therapeutische aanpak: Verbetering van spiergroei en - bescherming. Deze studie test de effectiviteit, veiligheid en tolerantie van Givinostat in niet-ambulante jongens met Duchenne.

Wie: Jongens met Duchenne spierdystrofie, leeftijd 9 tot 18 jaar, die niet meer kunnen lopen.

Overzicht studie: Deze gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde multicenterstudie evalueert de werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid van Givinostat bij niet-ambulante jongens met DMD. Het primaire doel is het beoordelen van de verandering in de Performance of the Upper Limb (PUL) 2.0-score na 18 maanden behandeling. Givinostat is een 'HDAC-remmer' dat zogenoemde HDAC (histone deacetylases) enzymen blokkeert. Deze enzymen zijn betrokken bij het 'aan- en uitzetten' van genen en kunnen de spierversnieuwing bij Duchenne verminderen. Door het remmen van de HDAC-activiteit wordt het aangenomen dat Givinostat kan helpen om de spierherstelmechanismen te activeren om de vernieuwing van spiervezels te verhogen en ontstekingen en fibrose te verminderen.

Duur deelname: 18 maanden

Testlocaties Nederland: UMC in Utrecht, RadboudUMC in Nijmegen

Testlocaties België: UZ Leuven

Givinostat (door Italfarmaco)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT03373968?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&page=2&rank=18>

Status: fase II/III, Inclusie op uitnodiging

Therapeutische aanpak: Verbetering van spiergroei en - bescherming. Dit is een open-label studie naar de veiligheid, tolerantie en werkzaamheid van Givinostat bij jonge patiënten

Wie: Jongens met Duchenne vanaf 7 jaar die eerder hebben deelgenomen aan een Givinostat studie.

Overzicht studie: Deze open-label extensiestudie evalueert de langetermijnveiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van Givinostat bij patiënten met DMD. Deelnemers ontvangen tweemaal daags een orale suspensie van Givinostat (10 mg/mL) na de maaltijd. De dosering wordt aangepast op basis van het lichaamsgewicht en laboratoriumwaarden, met name het aantal bloedplaatjes. Het primaire doel is het beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van Givinostat op de lange termijn.

Duur deelname: Doorlopend tot markttoelating of stopzetting van de studie om veiligheids- of werkzaamheidsredenen.

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden, RadboudUMC in Nijmegen

Testlocaties België: UH in Leuven, HCCR in Liège

BMN351 (door BioMarin Pharmaceuticals)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06280209?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=4>

Status: Fase I/II, inclusie van deelnemers gestart.

Therapeutische aanpak: Skippen van exon 51 om zo de productie van een verkorte maar functionele vorm van dystrofine te herstellen, waar mogelijk de spierfunctie door verbeterd.

Wie: Ambulante jongens met Duchenne van 4 tot 10 jaar met een genetische mutatie geschikt voor exon 51 skipping. Heeft geen beademingsapparatuur nodig.

Overzicht studie: Deze open-label, multicenter studie bestaat uit twee delen en evalueert de veiligheid, verdraagbaarheid, farmacokinetiek en farmacodynamiek van BMN 351 bij oplopende doseringen. Deelnemers worden toegewezen aan verschillende cohorten met variërende doseringsschema's, waarbij sommige starten met een lage dosis die geleidelijk wordt verhoogd. Het primaire doel is het beoordelen van de veiligheid en verdraagbaarheid van BMN 351, terwijl secundaire doelen onder andere de evaluatie van dystrofine expressie en fysieke functie omvatten.

Duur deelname: 7 tot 17 maanden

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden

Testlocaties België: nvt

Viltolarsen (door NS Pharma)

Status: Fase III, actief (inclusie gesloten)

Therapeutische aanpak: Skipping van exon 53 om zo de productie van een verkorte maar functionele vorm van dystrofine te herstellen, waar mogelijk de spierfunctie door verbeterd.

Wie: Jongens of mannen met Duchenne en een genetische mutatie geschikt voor exon 53 skipping, die al eerder hebben deelgenomen aan de RACER53-studie.

Overzicht studie: Deze studie richt zich op de lange termijn effecten van Viltolarsen. Het evalueert de veiligheid en werkzaamheid van viltolarsen over een periode van 96 weken. Deelnemers ontvangen wekelijks een intraveneuze infusie van 80 mg/kg viltolarsen. Primaire uitkomstmaat is het aantal deelnemers met behandelingsgerelateerde bijwerkingen. Secundaire uitkomstmaten omvatten functionele tests.

Duur deelname: 96 weken

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden, RadboudUMC in Nijmegen

Testlocaties België: nvt

Eteplirsen (door Sarepta Therapeutics)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT03992430?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&page=2&rank=15>

Status: Fase I/II, Actief (inclusie gesloten)

Therapeutische aanpak: Skippen van exon 51 om zo de productie van een verkorte maar functionele vorm van dystrofine te herstellen, waar mogelijk de spierfunctie door verbeterd. Door (aanvullende) segmenten in het gen, zogenaamde exons, over te slaan, kan de deletie verschuiven van een out-of-frame naar een in-frame deletie. Een in-frame deletie resulteert in een kleiner, maar nog steeds functioneel dystrofine

Wie: Ambulante jongens tussen de 4 en 13 jaar met Duchenne met een mutatie geschikt voor exon 51 skipping. Kan lopen zonder ondersteuning van hulpmiddelen en heeft stabiele longfunctie, zonder nachtbeademing (bij >7 jaar).

Overzicht studie: Deze studie bestaat uit twee delen en evalueert de veiligheid en effectiviteit van Eteplirsen bij hoge doseringen. Deelnemers worden toegewezen aan verschillende cohorten met variërende doseringsschema's.

Duur deelname: 2 a 3 jaar

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden, RadboudUMC in Nijmegen

Sevasemten, EDG-5506 (door Edgewise Therapeutics) - Becker

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05291091?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=7>

Status: Fase II, actief (inclusie gesloten)

Therapeutische aanpak: Vermindering van spierbeschadiging door reguleren van spiercontractie.

Wie: Mannen van 18 tot 50 jaar met Becker spierdystrofie, die na hun 16^e (zonder steroïden) of 18^e (met steroïden) mobiel zijn gebleven

Overzicht studie: Deze studie focust zich op de veiligheid en werkzaamheid van sevasemten over een periode van 18 maanden. De primaire uitkomstmaat is de verandering in de North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Deelnemers worden in een 2:1-verhouding gerandomiseerd naar sevasemten of placebo.

Duur deelname: 18 maanden

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden

Testlocaties België: UH in Gent, UZ in Leuven, CHRC in Liège

Sevasemten, EDG-5506 (door Edgewise Therapeutics) - Becker

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06066580?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=5>

Status: Fase II, inclusie op uitnodiging

Therapeutische aanpak: Vermindering van spierbeschadiging door reguleren van spiercontractie.

Wie: Deelnemers met Becker spierdystrofie die eerder hebben deelgenomen aan de MESA studie (pubers en volwassenen)

Overzicht studie: Deze open-label extensiestudie evalueert de langetermijnveiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van EDG-5506 bij deelnemers met Becker spierdystrofie. Alle deelnemers ontvangen EDG-5506 gedurende een verlengde periode, met regelmatige evaluaties van spierfunctie en biomarkers.

Duur deelname: Meerjarig

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden

Testlocaties België: UH in Gent, UZ in Leuven, CHRC in Liège

Enkel in België:

Vamorolone (door Santhera Pharmaceuticals)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06713135?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Netherlands&country=NL&rank=3>

Status: Fase IV, inclusie van deelnemers gestart

Therapeutische aanpak: Ontstekingsremmende voordelen met mogelijk minder bijwerkingen dan traditionele steroïden. Het stabiliseert spiermembranen en vermindert ontstekingen, wat kan bijdragen aan het behoud van spierfunctie bij patiënten met Duchenne spierdystrofie.

Wie: Jongens met Duchenne die eerder hebben deelgenomen in studies met vamorolone en dit nog steeds nemen.

Overzicht studie: De studie is een open-label extensiestudie die de langetermijn veiligheid en werkzaamheid van vamorolone evalueert bij jongens met Duchenne spierdystrofie.

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden, RadboudUMC in Nijmegen

Testlocaties België: UH in Gent, UZ in Leuven

Delandistrogene moxeparvovec (door Sarepta Therapeutics)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06128564?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&rank=7>

Status: Fase II, inclusie van deelnemers gestart

Therapeutische aanpak: gentherapie die gebruikmaakt van een adeno-geassocieerd virus (AAV) vector om een micro-dystrofine gen af te leveren aan spiercellen. Dit is bedoeld om de productie van functioneel dystrofine eiwit te bevorderen bij patiënten met Duchenne spierdystrofie.

Wie: Jongens jonger dan 4 jaar met een genetische diagnose van Duchenne spierdystrofie.

Overzicht studie: Deze open-label, multicenter studie evalueert de veiligheid, verdraagbaarheid en expressie van delandistrogene moxeparvovec na eenmalige intraveneuze toediening. De primaire uitkomstmaat is het aantal deelnemers met behandelingsgerelateerde bijwerkingen. Secundaire uitkomstmaten omvatten onder andere de expressie van micro-dystrofine in spierbiopten en functionele assessments.

Duur deelname: Tot 5 jaar follow-up

Testlocaties België: CHRC in Liège

Delandistrogene moxeparvovec, SRP-9001 (door Sarepta Therapeutics)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05967351?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&rank=10>

Status: Fase III, actief (inclusie gesloten)

Therapeutische aanpak: Gentherapie die gebruikmaakt van een adeno-geassocieerd virus (AAV) vector om een micro-dystrofine gen af te leveren aan spiercellen. Dit is bedoeld om de productie van functioneel dystrofine eiwit te bevorderen bij patiënten met Duchenne spierdystrofie.

Wie: Deelnemers met Duchenne spierdystrofie (ambulant en niet-ambulant) die eerder delandistrogene moxeparvovec (SRP-9001) hebben ontvangen in een eerdere klinische studie.

Overzicht studie: Deze open-label, multicenter extensiestudie evalueert de lang termijn veiligheid en effectiviteit van delandistrogene moxeparvovec bij deelnemers die eerder zijn behandeld met deze gentherapie. De studie omvat regelmatige follow-upbezoeken om de duurzaamheid van de behandelingseffecten en eventuele lange termijn bijwerkingen te monitoren.

Duur deelname: Tot 5 jaar follow-up

Testlocaties België: UZ in Gent

Delandistrogene moxeparvovec (door Sarepta Therapeutics)

Status: fase III, inclusie van deelnemers gestart

Therapeutische aanpak: Gentherapie die gebruikmaakt van een adeno-geassocieerd virus (AAV) vector om een micro-dystrofine gen af te leveren aan spiercellen. Dit is bedoeld om de productie van functioneel dystrofine eiwit te bevorderen bij patiënten met Duchenne spierdystrofie.

Wie: Deelnemers met Duchenne spierdystrofie, zowel ambulant als niet-ambulant.

Overzicht studie: Deze gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde multicenterstudie evalueert de veiligheid en werkzaamheid van delandistrogene moxeparvovec bij deelnemers met Duchenne spierdystrofie. Deelnemers worden toegewezen aan een enkele intraveneuze dosis van de gentherapie of een placebo, met regelmatige follow-upbezoeken om de effectiviteit en eventuele bijwerkingen te monitoren.

Duur deelname: Variabel

Testlocaties België: UZ in Gent

DYNE-251 (door Dyne Therapeutics)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05524883?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&page=2&rank=13>

Status: fase I/II, actief (inclusie gesloten)

Therapeutische aanpak: Skippen van exon 51 in het dystrofine gen. Door dit exon over te slaan, kan de productie van een verkorte maar functionele vorm van dystrofine worden hersteld, wat mogelijk de spierfunctie bij patiënten met Duchenne spierdystrofie verbetert.

Wie: Mannelijke deelnemers van 4 tot 16 jaar met Duchenne spierdystrofie en een genetische mutatie die geschikt is voor exon 51 skipping.

Overzicht studie: De studie evalueert de veiligheid, verdraagbaarheid, farmacodynamiek, werkzaamheid en farmacokinetiek van DYNE-251. De studie bestaat uit een dosis-escalatiefase gevolgd door een uitbreidingsfase, waarbij deelnemers DYNE-251 intraveneus ontvangen.

Duur deelname: 24, 24 en 192 weken (per fase)

Testlocaties België: UZ in Gent, UZ in Leuven, CHRC in Liège

Natuurlijk beloop, Genethon

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT03882827?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&page=3&rank=22>

Status: Observatiestudie, inclusie van deelnemers gestart

Therapeutische aanpak: Deze studie heeft geen therapeutische interventie; het doel is het verzamelen van gegevens over spierpathologie bij patiënten en controlegroepen.

Wie: Patiënten met Duchenne en gezonde controlepersonen tussen de 4 en 9 jaar oud.

Overzicht studie: Deze prospectieve, observationele studie beoogt het verzamelen van gegevens om spierpathologie beter te begrijpen. Er worden metingen en assessments uitgevoerd bij zowel patiënten als controlepersonen.

Duur deelname: 6 tot 36 maanden

Testlocaties België: CHRC in Liège, UZ in Leuven, Centre Hospitalier Universitaire Brugmann in Brussel

Natuurlijk beloop, ActiLiège next study (CHU Liege)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05982119?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&rank=9>

Status: Observatiestudie, inclusie van deelnemers gestart

Therapeutische aanpak: Deze studie heeft geen therapeutische interventie; het doel is het verzamelen van gegevens over spierpathologie bij patiënten en controlegroepen.

Wie: Patiënten met Duchenne tot maximaal 20 jaar (ambulant en niet-ambulant).

Overzicht studie: Deze prospectieve, observationele studie beoogt het verzamelen van gegevens om spierpathologie beter te begrijpen. Er worden metingen en assessments uitgevoerd bij zowel patiënten als controlepersonen.

Duur deelname: onbekend

Testlocaties België: CHRC in Liège

Non-invasieve ventilatie thuis (UZ Leuven)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT06773988?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&rank=4>

Status: Observaties studie, inclusie van deelnemers gestart.

Therapeutische aanpak: Onderzoek naar de haalbaarheid van volledige video-thuis-polysomnografie (slaaponderzoek) om de follow-up van non-invasieve ventilatie (NIV) bij volwassen DMD-patiënten te monitoren. Het doel is te bepalen of deze metingen in de thuissituatie voldoende zijn om behandelbeslissingen te ondersteunen en de minimale meetvereisten te analyseren.

Wie: Mannen met duchenne boven de 18 die non-invasieve ventilatie gebruiken

Overzicht studie: De studie onderzoekt of het mogelijk en praktisch is om met behulp van een volledige video-polysomnografie en CO₂-monitoring thuis de follow-up van NIV te doen bij volwassenen met DMD. Dit kan helpen om te bepalen of beslissingen over verdere zorg (bijv. aanpassing van ventilatie) correct kunnen worden gebaseerd op metingen buiten het ziekenhuis.

Duur deelname: 3 jaar

Testlocaties Nederland: nvt

Testlocaties België: UZ Leuven

ELEVATE-44 (door Entrada Therapeutics)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07037862?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&rank=3>

Status: Fase I/II, inclusie van deelnemers gestart.

Therapeutische aanpak: Een experimenteel medicijn dat gericht is op exon 44 skipping bij Duchenne muscular dystrophy. Het doel is om de veiligheid, tolerantie, farmacokinetiek en werkzaamheid van het medicijn te evalueren in een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde studie.

Wie: Mannen tussen de 4 en 20 jaar oud met Duchenne (ambulant) met een mutatie geschikt voor exon 44 skipping

Overzicht studie: De studie bestaat uit 2 delen. Deel A bepaalt de veiligheid en beste dosis van ENTR-601-44 door meerdere doses te testen. Deel B evalueert de veiligheid en werkzaamheid in vergelijking met een placebo. Deelnemers krijgen meerdere intravenieuze (IV) infusies van het onderzoeksmedicijn of het bijpassende placebo om de zes weken en bezoeken de kliniek regelmatig voor onderzoeken zoals bloed- en urinetests, lichamelijk onderzoek en vragenlijsten. Er worden spierbiopten afgenomen aan het begin en aan het einde van de behandeling om veranderingen in spierweefsel te beoordelen.

Duur deelname: Maximaal 3 jaar

Testlocaties Nederland: LUMC in Leiden.

Testlocaties België: UH Gent, UZ Leuven, Centre Hospitalier Régional

de la Citadelle Liège

NBS studie (Centre Hospitalier Universitaire de Liege)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07286565?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&rank=1>

Status: Inclusie van deelnemers gestart.

Therapeutische aanpak: Observatieonderzoek naar gedecentraliseerde monitoring van motorische ontwikkeling met behulp van digitale draagbare technologieën bij kinderen met Duchenne muscular dystrophy (DMD) of spinal muscular atrophy (SMA).

Wie: Jongens met Duchenne jonger dan 4 jaar

Overzicht studie: Deze studie is een monocentrisch, volledig remote, observationeel protocol waarin motorische ontwikkeling wordt gevolgd bij zeer jonge kinderen met DMD of SMA gedurende maximaal 30 maanden. Deelnemers worden volledig op afstand gerekruteerd en begeleid via telefoon en videoconferentie, met geen verplicht ziekenhuisbezoek. Kinderen dragen sensoren die objectieve data verzamelen over motorische prestaties en groei.

Duur deelname: Tot 30 maanden

Testlocaties Nederland: nvt

Testlocaties België: Centré hospitalier Régional de la Citadelle Liège

PF-06939926 (door Pfizer)

<https://clinicaltrials.gov/study/NCT04281485?cond=Duchenne%20Muscular%20Dystrophy&locStr=Belgium&country=BE&page=2&rank=18>

Status: Fase III, actief (inclusie gesloten)

Therapeutische aanpak: een gen-therapie met een AAV9-vector die een verkleinde (micro-)dystrofinecode levert om de productie van dystrofine in spiercellen te stimuleren. Het doel is om de veiligheid en werkzaamheid van deze gentherapie bij Duchenne te evalueren in vergelijking met placebo

Wie: Ambulante jongens met Duchenne van 4 tot 7 jaar.

Overzicht studie: Gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde studie die de veiligheid en werkzaamheid van het middel onderzoekt. 2/3^e van de deelnemers krijgt de gen therapie, ongeveer 1/3^e krijgt een placebo. De placebo groep kan na 1 jaar de gentherapie ook ontvangen als dit veilig blijft. De therapie wordt via intraveneuze infuus geleverd.

Duur deelname: 1 jaar

Testlocaties Nederland: nvt

Testlocaties België: UZ Gent, UZ Leuven