

Onderzoek naar EDG-5506 bij volwassenen met Becker spierdystrofie

Mannen van 18 jaar en ouder met Becker spierdystrofie (BMD) kunnen deelnemen aan onderzoek genaamd de Grand Canyon, een fase 3-studie gericht op het onderzoeken van de veiligheid en effectiviteit van een experimenteel middel genaamd EDG-5506.

Dit middel is ontworpen om het gebruik van snelle spiervezels te reguleren en spieraafbraak bij BMD te verminderen. EDG-5506 is momenteel nog niet goedgekeurd door regelgevende instanties zoals het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), waardoor het als een experimenteel middel wordt beschouwd. Dit onderzoek onderzoekt of EDG-5506 daadwerkelijk spierschade kan verminderen en de functie kan behouden. Een succesvolle vermindering van spierschade zou een positieve impact kunnen hebben op de progressie van BMD.

Dit wereldwijde onderzoek wordt momenteel uitgevoerd in verschillende landen. In Nederland is het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) de locatie waar dit onderzoek plaatsvindt.

Deelnemers aan dit onderzoek worden willekeurig toegewezen aan dagelijkse tabletten, waarbij EDG-5506 wordt vergeleken met een placebo (een niet-werkzame stof). De kans om EDG-5506 te ontvangen is 2 op 3. Het onderzoek beslaat een periode van 20 maanden, met een screeningsfase van één bezoek, een behandelingsfase van zes bezoeken en vier telefonische afspraken. Na afloop van de behandelingsfase is er ook een follow-upfase met een telefonische afspraak vier weken later. Vanuit dit onderzoek is er de mogelijkheid om door te gaan naar een open-label studie van 1,5 jaar. In deze open-label studie zal elke deelnemer het medicijn EDG-5506 ontvangen.

Voor deelname aan dit onderzoek gelden specifieke criteria. Als u meer wilt weten over dit onderzoek of wilt weten of u in aanmerking komt om deel te nemen, neem dan contact met ons op: becker@lumc.nl.