

Exploratory study on the local dystrophin production restoring effect and safety and tolerability of a single intramuscular dose of antisense oligoribonucleotide PRO051 in Duchenne muscular dystrophy patients.

Gepubliceerd: 22-06-2006 Laatste bijgewerkt: 13-12-2022

Antisense oligoribonucleotides inducing exon skipping is a promising approach to restore dystrophin synthesis in patients with Duchenne.

Ethische beoordeling	Positief advies
Status	Werving gestopt
Type aandoening	-
Onderzoekstype	Interventie onderzoek

Samenvatting

ID

NL-OMON21618

Bron

NTR

Verkorte titel

N/A

Aandoening

Duchenne muscular dystrophy.

Ondersteuning

Primaire sponsor: ProSensa B.V.

Wassenaarseweg 72

Leiden

The Netherlands

Overige ondersteuning: ProSensa B.V.

Wassenaarseweg 72
Leiden
The Netherlands

Onderzoeksproduct en/of interventie

Uitkomstmaten

Primaire uitkomstmaten

Pharmacodynamics (dystrophin restoring effect).

Toelichting onderzoek

Achtergrond van het onderzoek

Single-dose, open, single-center study in children with Duchenne muscular dystrophy. On Day 0 eligible patients will receive PRO051 on a single occasion by intramuscular injections. On Day 28 a biopsy from the tibialis anterior muscle will be taken.

Doel van het onderzoek

Antisense oligoribonucleotides inducing exon skipping is a promising approach to restore dystrophin synthesis in patients with Duchenne.

Onderzoeksopzet

N/A

Onderzoeksproduct en/of interventie

Treatment with PRO-051.

Contactpersonen

Publiek

G. Platenburg
ProSensa B.V.
Wassenaarseweg 72

Leiden
The Netherlands

Wetenschappelijk

G. Platenburg
ProSensa B.V.
Wassenaarseweg 72

Leiden
The Netherlands

Deelname eisen

Belangrijkste voorwaarden om deel te mogen nemen (Inclusiecriteria)

1. Duchenne muscular dystrophy patients;
2. Age between 8 and 16 years;
3. Positive in vitro dystrophin RNA skip test in prior skin or muscle biopsy or in screening skin biopsy.

Belangrijkste redenen om niet deel te kunnen nemen (Exclusiecriteria)

N/A

Onderzoeksopzet

Opzet

Type:	Interventie onderzoek
Onderzoeksmodel:	Anders
Toewijzing:	Niet-gerandomiseerd
Blinding:	Open / niet geblindeerd

Controle: N.v.t. / onbekend

Deelname

Nederland
Status: Werving gestopt
(Verwachte) startdatum: 22-06-2006
Aantal proefpersonen: 6
Type: Werkelijke startdatum

Ethische beoordeling

Positief advies
Datum: 22-06-2006
Soort: Eerste indiening

Registraties

Opgevolgd door onderstaande (mogelijk meer actuele) registratie

Geen registraties gevonden.

Andere (mogelijk minder actuele) registraties in dit register

Geen registraties gevonden.

In overige registers

Register	ID
NTR-new	NL651
NTR-old	NTR712
Ander register	: N/A
ISRCTN	Incomplete info for ISRCTN

Resultaten

Samenvatting resultaten

N/A