

Numero dello studio	Punti importanti del protocollo	Paesi	Eleggibilità	Scopo dello studio	Stato
DMD115501 (iniziato mediante correzione del protocollo)	nessuna biopsie; visite settimanali con la possibilità di optare per la somministrazione a casa dove possibile	Stati Uniti, Canada	Pazienti del precedente studio DMD114876 Pazienti degli Stati Uniti e Canada del precedente studio DMD114349	Valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia a lungo termine	Studio in corso
DMD114673 (iniziato mediante correzione del protocollo)	Nessuna biopsia	Belgio e Svezia	Pazienti del precedente studio DMD114673	Valutare l'effetto, sicurezza e tollerabilità del trattamento a lungo termine e la sicurezza, tollerabilità e PK della somministrazione IV	Studio in corso
BMN051-302 (nuovo protocollo)	Nessuna biopsia	Mondiale	Pazienti del precedente studio DMD114349 Pazienti del precedente studio DMD114118	Valutare l'effetto, la sicurezza e la tollerabilità del trattamento a lungo termine e la sicurezza, tollerabilità e PK della somministrazione IV	Protocollo finalizzato; sottomissione regolatoria in corso; inizio reclutamento per la seconda metà dell'anno