

药物临床试验登记与信息公示平台

目前是第 1 个试验/共 1 个试验

基本信息

登记号	CTR20241194	试验状态	进行中
申请人联系人	杨健帅	首次公示信息日期	2024-04-11
申请人名称	北京唯源立康生物科技股份有限公司		

公示的试验信息

一、题目和背景信息

登记号	CTR20241194		
相关登记号			
药物名称	WG1025		
药物类型	生物制品		
临床申请受理号	企业选择不公示		
适应症	营养不良型大疱性表皮松解症		
试验专业题目	WG1025用于治疗营养不良型大疱性表皮松解症（DEB）的安全性、耐受性、药代动力学I期研究及随机、双盲、安慰剂对照II期临床研究及扩展研究		
试验通俗题目	WG1025用于治疗营养不良型大疱性表皮松解症（DEB）的安全性、耐受性、药代动力学I期研究及随机、双盲、安慰剂对照II期临床研究及扩展研究		
试验方案编号	WG1025-01	方案最新版本号	3.0
版本日期	2024-03-01	方案是否为联合用药	否

二、申请人信息

申请人名称	1 北京唯源立康生物科技股份有限公司					
联系人姓名	杨健帅	联系人座机	010-62963540	联系人手机号	18500431600	
联系人Email	jsyang@genevec.com	联系人邮政地址	北京市-北京市-海淀区上地开拓路5号中关村生物医药园A309		联系人邮编	100000

三、临床试验信息

1、试验目的

I期：主要研究目的 评估WG1025在营养不良型大疱性表皮松解症（DEB）治疗中的安全性和耐受性。次要研究目的 评估WG1025在DEB治疗中的初步有效性。评价WG1025的免疫原性。在DEB患者中，治疗前后COL7A1的表达。II期 主要研究目的 评估WG1025在DEB治疗中的有效性。次要研究目的 评估WG1025在DEB治疗中的安全性。评价WG1025药代动力学。评估WG1025在DEB患者中的免疫原性。在DEB患者中，治疗前后COL7A1的表达。拓展期研究目的 评估DEB长期治疗中的安全性。

2、试验设计

试验分类	安全性和有效性	试验分期	其它 其他说明:I/II期	设计类型	平行分组
随机化	随机化	盲法	双盲	试验范围	国内试验

3、受试者信息

年龄	2岁(最小年龄)至 无上限 (最大年龄)	
性别	男+女	
健康受试者	无	

入选标准	1	临床诊断为DEB的受试者；
	2	通过包括COL7A1在内的基因检测确认DEB诊断（DDEB或RDEB）者；
	3	签署知情同意书（ICF）时年龄≥ 2周岁者；
	4	有生育能力的男性或女性必须在整个研究期间至最后一次使用WG1025后的3个月内（90天）使用可靠的避孕方法
	5	创口符合以下标准者（II期研究需满足a和b，I期研究需满足b）： a) 位置：至少1对创口对的受试者，相似解剖区域对称或相似解剖区域对称或相似部位，外观相似； b) 外观：基底红润、血供良好、创口干净、无感染
	6	经研究者判定，有能力和意愿理解本试验、遵循试验流程，并且能返回研究中心完成所需的随访者；
	7	受试者或受试者法定监护人/法定代理人/公正见证人必须阅读、理解并签署ICF，并必须能够并愿意遵循研究程序和指示。
排除标准	1	无法返回研究中心者；
	2	存在由研究者判断可能干扰对研究治疗的安全性和有效性的评估以及影响受试者对研究随访/程序的依从性的疾病或条件；
	3	筛选前1个月或所接受药物的5个半衰期内（以较长者为准）接受了化疗或免疫治疗（度普利尤单抗注射液除外）者；
	4	有证据表明目前患有鳞状细胞癌或过往存在鳞状细胞癌病史者
	5	研究者判断受试者存在药物滥用者或毒品、酒精成瘾者；
	6	过去3个月（90天）内参与过干预性临床试验者；
	7	对局部麻醉（利多卡因/丙氯卡因乳膏）过敏者；
	8	既往接受过皮肤移植者；
	9	妊娠期或哺乳期女性；
	10	筛选时，被研究者评估创口不适合接受研究药物给药者；
	11	对研究药物、其辅料、纱布或敷料过敏者
	12	筛选时需要治疗的系统性感染和/或有不可控制的局部创口感染者
	13	有严重的心血管疾病，且研究者判定不适合参加本临床研究
	14	筛选时严重贫血（血红蛋白 < 60 g/l）者，筛选时血小板计数 ≤ 100 × 10 ⁹ /l者
	15	肝功能异常者： a) 丙氨酸氨基转移酶或天门冬氨酸氨基转移酶 > 3倍正常值上限（ULN）；或 b) 血清胆红素 > 3 × ULN；
	16	肾功能异常者： a) 尿素或尿素氮 > 1.5 × ULN；或 b) 血清肌酐 > 2 × ULN；
	17	活动性乙型肝炎、活动性丙型肝炎、人类免疫缺陷病毒抗体阳性或抗梅毒螺旋体特异性抗体阳性者；活动性乙型肝炎定义为已面抗原阳性且乙型肝炎病毒（HBV）DNA结果大于检测下限，活动性丙型肝炎定义为已知丙型肝炎病毒抗体（HCV Ab）阳性；HCV RNA结果大于检测下限
	18	患有活动性、或曾患过且有复发可能的自身免疫性疾病者（如系统性红斑狼疮，类风湿性关节炎，血管炎等）；临床稳定的自身免疫性疾病者或患有无需全身治疗的自身免疫性皮肤病患者等则可以入选，如银屑病等；
	19	筛选前3个月内或筛选期间献血或大量失血（≥ 400 ml）、接受输血或使用血液制品者；或计划在试验期间或试验结束后1个月
	20	研究者认为受试者存在其它严重的系统性疾病或其他原因而不适合参加本临床研究。

4、试验分组

	序号	名称
试验药	1	中文通用名:WG1025 英文通用名:WG1025 商品名称:NA 剂型:凝胶剂 规格:1×10 ⁸ pfu/ml, 1.0ml/支 用法用量:外用涂抹；创口面积 ≤20cm ² , 用量 ≤1ml；创口面积至≤40 cm ² , 用量2ml；创口面积 > 40 cm ² 至≤80 cm ² , 用量面积 > 80 cm ² 至≤120 cm ² , 用量5ml。 用药时程:连续给药；每周两次

	序号	名称	
对照药	1	中文通用名:安慰剂 英文通用名:NA 商品名称:NA	剂型:凝胶剂 规格:1.0ml/支 用法用量:外用涂抹; 创口面积 ≤20cm ² , 用量 ≤1ml; 创口面积至≤40 cm ² , 用量2ml; 创口面积 > 40 cm ² 至≤80 cm ² , 用量面积 > 80 cm ² 至≤120 cm ² , 用量5ml。 用药时程:连续给药; 每周两次

5、终点指标

	序号	指标	评价时间	
主要终点指标及评价时间	1	II期安全性终点: (1) 治疗到第5周时, 治疗中出现的不良事件 (TEAE) 的发生率, 包括但不限于严重不良事件 (SAE) 和导致停药TEAE等。	治疗到第5周时	安全性指标
	2	II期安全性终点: (2) 治疗到第5周时, 安全性参数的变化: 症状、生命体征和体格检查; 实验室检查: 血常规、尿常规、凝血功能、肝功能、肾功能等; 12导联心电图 (ECG) 检查。	治疗到第5周时	安全性指标
	3	II期主要有效性终点: 治疗3个月 (8、10、12周) 时, 受试者A类创口完全愈合比例 (在8、10周完全愈合的创口需在2周后, 进行完全愈合创口的确认)。	治疗3个月 (8、10、12周) 时	有效性指标

次要终点指标及评价时间	序号	指标	评价时间	
	1	I期安全性终点：（1）第6~13周、14~26周和整个研究期间，TEAE的发生率，包括但不限于SAE和导致停药的TEAE等。	第6~13周、14~26周和整个研究期间	有效性指标+安
	2	I期安全性终点：（2）第6~13周、14~26周和整个研究期间，安全性参数的变化：症状、生命体征和体格检查；实验室检查：血常规、尿常规、凝血功能、肝功能、肾功能等；12导联ECG检查。	第6~13周、14~26周和整个研究期间	安全性指标
	3	I期有效性终点：（1）次要主要有效性终点：在治疗9、11、13周时，受试者A类创口完全愈合的比例（在9、11周完全愈合的创口，需在2周后进行完全愈合创口的确认）。	治疗9、11、13周时	有效性指标
	4	I期有效性终点：（2）在治疗1、3、5、16、20、22、24、26周时，受试者A类创口完全愈合的比例。	治疗1、3、5、16、20、22、24、26周时	有效性指标
	5	I期有效性终点：（3）在治疗1、3、5、9、11、13、16、20、22、24、26周时，受试者A类创口愈合75%和50%的比例。	治疗1、3、5、16、20、22、24、26周时	有效性指标
	6	I期有效性终点：（4）A类创口中，完全愈合创口的愈合持续时间。	整个治疗期间	有效性指标
	7	I期有效性终点：（5）在治疗3、5、9、11、13、16、20、22、24、26周时，受试者五维健康量表（EQ-5D）较基线的变化。	治疗3、5、9、11、13、16、20、22、24、26周时	有效性指标
	8	I期有效性终点：（6）在治疗3、5、9、11、13、16、20、22、24、26周时，受试者疼痛较基线的改善程度	治疗3、5、9、11、13、16、20、22、24、26周时	有效性指标
	9	I期药代动力学终点 血液、尿液、鼻腔分泌物、创口/绷带擦拭样本和粪便中WG1025的DNA拷贝数及擦拭样本WG1025活性。	整个研究期间	有效性指标+安
	10	I期免疫原性终点（1）抗COL7抗体和抗HSV-1结合抗体检测。（2）抗HSV-1中和抗体检测。	整个研究期间	有效性指标+安
	11	I期探索性终点：治疗前后COL7A1的表达。	整个研究期间	有效性指标
	12	II期主要次要有效性终点：治疗6个月（22、24、26周）时，受试者A类创口完全愈合比例（在22、24周完全愈合的创口需在2周后，进行完全愈合创口的确认）。	治疗6个月（22、24、26周）时	有效性指标
	13	II期其余次要有效性终点：（1）在治疗2、4、8、10、12、16、20、22、24、26周时，受试者A类创口完全愈合、愈合75%、愈合50%的比例。	治疗2、4、8、10、12、16、20、22、24、26周时	有效性指标
	14	II期其余次要有效性终点：（2）受试者A类创口中，完全愈合创口的愈合持续时间。	整个研究期间	有效性指标
	15	II期其余次要有效性终点：（3）在治疗2、4、8、10、12、16、20、22、24、26周时，受试者EQ-5D量表较基线的变化：	治疗2、4、8、10、12、16、20、22、24、26周时	有效性指标
	16	II期其余次要有效性终点：（4）在治疗2、4、8、10、12、16、20、22、24、26周时，受试者疼痛较基线的改善程度；	治疗2、4、8、10、12、16、20、22、24、26周时	有效性指标

17	II期安全性终点：（1）TEAE的发生率，包括但不限于SAE和导致停药的TEAE等。	整个研究期间	安全性指标
18	II期安全性终点：（2）安全性参数的变化：症状、生命体征和体格检查；实验室检查：血常规、尿常规、凝血功能、肝功能、肾功能等；12导联ECG检查。	整个研究期间	安全性指标
19	II期药代动力学终点：血液、尿液、鼻腔分泌物、创口/绷带擦拭样本和粪便中WG1025的DNA拷贝数及擦拭样本WG1025活性。	整个研究期间	有效性指标+安
20	II期免疫原性终点：（1）抗COL7抗体和抗HSV-1结合抗体检测。（2）抗HSV-1中和抗体检测。	整个研究期间	有效性指标+安
21	II期探索性终点：治疗前后COL7A1的表达。	整个研究期间	有效性指标

6、数据安全监查委员会（DMC）

无

7、为受试者购买试验伤害保险

有

四、研究者信息

1、主要研究者信息

1	姓名	林志霖	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	13681438841	Email	zhimiaolin@bjmu.edu.cn	邮政地址	广东省-广州市-广 秀区南方医科大学
	邮编	510000	单位名称	南方医科大学皮肤病医院		
2	姓名	李薇	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	18980601695	Email	724564806@qq.com	邮政地址	四川省-成都市-武 号
	邮编	610000	单位名称	四川大学华西医院		
3	姓名	徐子刚	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	13370115021	Email	zigangxupek@163.com	邮政地址	北京市-北京市-西 56号
	邮编	100000	单位名称	首都医科大学附属北京儿童医院		
4	姓名	罗晓燕	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	13012381671	Email	luoxycq@hotmail.com	邮政地址	重庆市-重庆市-渝 136号
	邮编	400000	单位名称	重庆医科大学附属儿童医院		
5	姓名	陈柳青	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	13971394978	Email	chlq35@126.com	邮政地址	湖北省-武汉市-硚 215号
	邮编	430022	单位名称	武汉市第一医院		
6	姓名	李颖	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	13406068970	Email	1145241793@qq.com	邮政地址	山东省-济南市-历 107号
	邮编	250012	单位名称	山东大学齐鲁医院		

7	姓名	李明	学位	医学博士	职称	主任医师
	电话	18939791265	Email	duizechen@163.com	邮政地址	上海市-上海市-万
	邮编	201102	单位名称	复旦大学附属儿科医院		

2、各参加机构信息

序号	机构名称	主要研究者	国家或地区	省(州)	城市
1	南方医科大学皮肤病医院	林志淼	中国	广东省	广州市
2	四川大学华西医院	李薇	中国	四川省	成都市
3	首都医科大学附属北京儿童医院	徐子刚	中国	北京市	北京市
4	重庆医科大学附属儿童医院	罗晓燕	中国	重庆市	重庆市
5	武汉市第一医院	陈柳青	中国	湖北省	武汉市
6	山东大学齐鲁医院	李颖	中国	山东省	济南市
7	复旦大学附属儿科医院	李明	中国	上海市	上海市

五、伦理委员会信息

序号	名称	审查结论	批准日期/备案日
1	南方医科大学皮肤病医院	同意	2024-03-28

六、试验状态信息

1、试验状态

进行中 (尚未招募)

2、试验人数

目标入组人数	国内: 48 ;
已入组人数	国内: 登记人暂未填写该信息;
实际入组总人数	国内: 登记人暂未填写该信息;

3、受试者招募及试验完成日期

第一例受试者签署知情同意书日期	国内: 登记人暂未填写该信息;
第一例受试者入组日期	国内: 登记人暂未填写该信息;
试验完成日期	国内: 登记人暂未填写该信息;

七、临床试验结果摘要

序号	版本号	版本日期
暂未填写此信息		

[^](#)
[TOP](#)

目前是第 1 个试验/共 1 个试验