

**Wnioskodawca:**

Warszawski Uniwersytet Medyczny

**Dane kontaktowe Wnioskodawcy:**

Warszawski Uniwersytet Medyczny

ul. Żwirki i Wigury 61

02-091 Warszawa

strona www: <https://www.wum.edu.pl/>

**Tytuł projektu:**

„Leczenie dzieci w wieku 6 – 18 lat z przewlekłym wirusowym zapaleniem wątroby typu C przy użyciu pangenotypowego leku o bezpośrednim działaniu przeciwwirusowym (sofosbuwir/welpataswir)”.

**Cel badania:**

Cele podejmowanej interwencji są następujące:

1. Wyleczenie pacjentów pediatrycznych z przewlekłym wzv typu C.
2. Ocena skuteczności SOF/VEL w populacji pediatrycznej.
3. Ocena bezpieczeństwa SOF/VEL w populacji pediatrycznej.
4. Monitorowanie pacjentów w trakcie i po leczeniu (długoterminowa prospektywna obserwacja pacjentów po leczeniu, która pozwoli ocenić trwałość efektów terapii i ew. odległe działania niepożądane, w tym wpływ na rozwój dzieci) .

Niekomercyjne badanie kliniczne polega na zastosowaniu w populacji dziecięcej leku o działaniu pangenotypowym (aktywnego wobec wszystkich genotypów HCV): sofosbuwiru/welpataswiru (SOF/VEL), którego skuteczność udowodniono u osób dorosłych, zakażonych genotypami 1 – 6 HCV. W badaniach klinicznych przeprowadzonych u pacjentów dorosłych potwierdzono dobry profil bezpieczeństwa terapii oraz jej wysoką skuteczność, która w zależności od genotypu HCV wahała się pomiędzy 95 a 100% (badania ASTRAL). Proponowany projekt badawczy dotyczy zastosowania leku poza wskazaniami rejestracyjnymi - lek ten jest zarejestrowany wyłącznie dla osób dorosłych, nie ma rejestracji dla osób poniżej 18 lat.