

# PROCES REKRUTACJI

## TERAPIA GENOWA DLA RAG1-SCID (KONSORCJUM RECOMB)



### konsorcjum RECOMB

**RECOMB** to konsorcjum badawcze założone w 2018 roku, które integruje specjalistów klinicznych i badawczych z 16 europejskich instytutów oraz jednego Izraelskiego instytutu, posiadających doświadczenie w zarządzaniu wrodzonymi błędami odporności (IEI), takimi jak ciężka skojarzona niedobór odporności (SCID).

Projekt otrzymał finansowanie z programu Horyzont 2020 Unii Europejskiej.

### badanie kliniczne RECOMB

FAZA I/II

Niemowlę z RAG1-SCID zostanie przyjęte do jednostki terapii genowej w Klinice Transplantacji Szpiku, Onkologii i Hematologii Dziecięcej Uniwersytet Medyczny we Wrocławiu Ponadregionalne Centrum Onkologii Dziecięcej "Przyładek Nadziei" aby rozpocząć leczenie, unikając konieczności podróży za granicę.

Badanie składa się z infuzji autologicznych komórek CD34+, transdukowanych lentiwirusem RAG1 u pacjentów ze SCID spowodowanym niedoborem RAG1. W ramach badania zarejestrowano już dwóch pacjentów, z zadawalającą, obserwacją trwającą do dwóch lat.

### CEL


Zapewnienie nowej opcji terapeutycznej opartej na terapii genowej dla noworodków i niemowląt z jedną z najczęstszych postaci SCID: niedoborem RAG-1

### KRYTERIA


WŁĄCZENIA	WYŁĄCZENIA
Genetycznie potwierdzony RAG1-SCID	Dostępny dawca zgodny pod względem HLA
Wiek poniżej 2 lat	Liczba obwodowych limfocytów T >300/μl i/lub limfocytów T naiwnych >1/μl
Brak dostępnego dawcy zgodnego pod względem HLA	Zespół Omenna
Liczba obwodowych limfocytów T <300/μl i/lub limfocytów T naiwnych <1/μl.	Poprzednia transplantacja komórek macierzystych
Brak zespołu Omenna	Znacząca dysfunkcja narządu

### KONTAKT

**PROF. DR HAB. KRZYSZTOF KAŁWAK**

 krzysztof.kalwak@gmail.com, koh@usk.wroc.pl

 +48 71 733 2700, +48 71 733 2701

 <http://www.recomb.eu/>

