

חברת UNIQUIRE מתכננת להתחיל שלב 1 במחקר קליני בתחום של טיפול גני

בכתב העת HDBUZZ שהופיע ביולי 2019 (מס. 274) פורסם מאמר המתאר בקצרה את המחקר המתוכנן של חברת UNIQUIRE. מדובר על ניסוי קליני חדש שבו יעשה ניסוי במוצר שנקרא 130 AMT. מדובר בחומר שיישלח על גבי וקטור ויראלי (AAV) והוא מיועד להוסיף פיסת מידע הנוגעת לקידוד הגן המוטנטי. הקוד אמור לגרום לגן המוטנטי לייצר מולקולה חדשה שתגרום להנמכת רמת הייצור של חלבון הנטינגטין מוטנטי. מדובר בהתערבות חד פעמית שאמורה להמשיך את הקידוד מחדש לכל החיים. הניסוי הקליני הראשון יתמקד בסוגיות של בטיחות וסיבולת לתרופה. דבר נוסף תיבדק היעילות. כלומר, האם אכן תתרחש הנמכה של רמת החלבון המוטנטי. הניסוי ייערך בארה"ב בלבד. יגויסו 26 חולי הנטינגטין מתנדבים, בשלבי מחלה ראשוניים עם לא פחות מ- 44 CAG. כלומר, לא פחות מ- 50% מהחולים יודרו מהניסוי מאחר והם נמצאים בטווח של 39-43 CAG.

כמו מחקרים אחרים בתחום של טיפול גני, גם בניסוי זה מדובר בטכניקה פולשנית. המתנדב יורדם בהרדמה כללית, במהלך ההרדמה יבוצעו 2 עד 6 נקבים בעצם הגולגולת וקטטרים זעירים יוחדרו למוח. דרך אותם קטטרים יוזרק למוח החומר 130 AMT. 10 מהמשתתפים יקבלו תרופת דמה, יעברו הרדמה כללית אך לא יעברו החדרת קטטר או הזרקת חומר למוח. המעקב אחר החולים יהיה למשך 18 חודש וכולל בדיקות ממוחשבות של המוח, דיקור עמוד שדרה מותני ומעקב אחר תופעות לוואי. כל מי שיקבל את התרופה יהיה במעקב למשך 5 שנים. למי שהיה בקבוצת הדמה יוצע בתום 18 חודש לעבור את ההליך האמיתי של קבלת התרופה, זאת ובכפוף לתוצאות שלב 1 של המחקר.

סיכום וסיכונים - חוזקו של הניסוי הוא גם חולשתו-היותו מבוסס על התערבות חד פעמית. אופטימלית, אם הניסוי יצליח, אמורים להציעו כטיפול חד פעמי לנשאי הגן המוטנטי בשלב הטרם-סימפטומטי ובהנחה שהשפעת הטיפול היא לכל החיים והוא באמת מונע ואולי מאט או מעכב את הופעת תסמיני המחלה. אבל, אם יהיו לניסוי תופעות לוואי, אילו עלולות להיות תופעות עם נזק לטווח ארוך ואין דרך "להפוך" את הטיפול שכבר ניתן. "כיבוי" (SWITCHING OFF) התרופה הוא כנראה בלתי אפשרי.

בעיה נוספת- נכון לעכשיו המוצר 130 AMT עלול להנמיך גם את פעילות הגן התקין, אותו גן שהאדם ירש מההורה שאינו חולה בהנטינגטון. עלול להיווצר נזק בלתי הפיך וזאת מתוך ידיעה שפעילות הגן התקין חיונית ונחוצה לתהליכים שונים במוח ובכל הגוף..

כיום, אין עדיין מספיק ידע לגבי ההשפעות של התערבויות שונות שמטרתן הנמכה של חלבון הנטינגטין במוח של אדם בוגר. אותה בעיה עלולה לצוף גם במחקר שלב 3 של חברת רוש שבה ייעשה שימוש בתרופה RG 6042. לכן, כל חולה הנטינגטין שמתנדב להשתתף במחקר זה הוא לא רק חלוץ אלא גם גיבור שמתנדב לפסוע בארץ לא נודעת!