

EHDN – European HD network Virtual Bridging Event 2020

September 11 2020

במקור, היה אמור להתקיים בספטמבר 2020, בבולוניה איטליה, הכנס הבינלאומי הדו שנתי של EHDN. אירועי הקורונה גרמו לדחיית הכנס לספטמבר 2021, ובמקום זאת לקיים סדנה וירטואלית שהתמקדה בתחום המחקר המדעי והקליני של מחלת הנטינגטון. התקציר שבהמשך, הוא תמצית החלק של הסדנה, שעסק בעדכון עכשווי של חלק מהמחקרים הקליניים שנעשים כעת בעולם בקרב חולי הנטינגטון (בעיקר חולים בשלבי המחלה הראשוניים).

המרצה	מהיכן	חברת תרופות	שם המחקר	שם התרופה	שלב	גיוס משתתפים	מטרת המחקר	תהליכי המחקר ותמונת מצב
שרה טברזי	לונדון אנגליה	ROCHE	Generation HD 1	Tominersen	3	791 גיוס מ-18 מדינות. עקב הקורונה גיוס החולים הסתיים.	יעילות ובטיחות התרופה והפרוצדורה, רמת הנמכת יצור החלבון המוטנטי במוח, עצירת התפתחות המחלה	120 מ"ג של התרופה יינתנו בזריקה לע"ש, פעם ב-8 שבועות. מעקב של 25 חודש.
אן הנזאמן	פריז צרפת	WAVE LIFE	PRECISION HD 1/2	WAVE 102101 Wave 120102	1-2	12	הנמכת רמת יצור החלבון המוטנטי במוח	התוצאות עד עתה מאכזבות, תוצאות נוספות צפויות ב-2021, שוקלים העלאת מינון התרופה
אן רוסאר	קרדיף, וולס	Triplet Therapeutic	Shield HD		1-2	60	תיבדק התופעה של הרחבה סומטית של רצף ה-CAG באיברי הגוף השונים והאם ניתן להשפיע על תהליך זה	יתחיל עד סוף 2020, 5 ארצות, (קנדה, ארה"ב, אנגליה, גרמניה, צרפת). יימשך שנתיים
ברנד לאנדווארמאיר	אולם גרמניה	פרילנאיה (חברה ישראלית-הולנדית)	Proof HD	Pridopidine	3	981 גיוס יחל בסוף 2020	מידת השינוי/שיפור בתפקוד מוטורי למי שיקבל את התרופה למשך שנה ובמינון גבוה	גיוס משתתפים רק בתחומי ארה"ב. המעקב אחר החולים ייערך לאורך 52 שבועות לפחות
ראלף רילמן	מינסטר גרמניה	UniQure	HD Gene TRK 1	AMT 130	1-2	26 חולים ראשוניים עברו כבר את הניתוח שבוצע באוניברסיטת אוהיו	רפוי גני שיגור קפסולה בעזרת וקטור יראלי לאזורים מוגדרים במוח. מטרת הטיפול: שינוי הקידוד הגנטי שגורם ליצירת הרצף המורחב. חיפוש המועד הנכון להתערבות.	דורש התערבות נירוכירורגית פולשנית תחת הרדמה כללית. יש לבדוק בטיחות והעדר תופעות לוואי כמו דחיית שתל, זיהום או השפעה על גנים או תאי מוח חיוניים אחרים. לא ברור כמה זמן השפעה יהיה לחומר על תאי המוח. מעקב 5 שנים.
אן קתרין בחוד-לוי	צרפת			תאי גזע עובריים	1-2	46 גיוס ב-6 מרכזי מחקר בבליגיה ובצרפת	האם ע"י השתלת תאי גזע באזורים במוח שנפגעים מהמחלה נגרם לשיפור בתפקוד המוטורי והיומיומי של החולים	מדובר במחקר שנערך לסירוגין כבר יותר מעשר שנים. עד כה ללא תוצאות מעודדות. יש צורך להכניס שינויים בפרוטוקול המחקרי כולל שילוב של תרופות כנגד דחיית השתל

הסדנה הוקלטה ע"י צוות רשת המחקר האירופאית, ויש להניח שבכתב העת הקרוב של הארגון יתפרסמו הדברים, ולכן מי שמעוניין לדעת יותר לעומק פרטים מוזמן כמובן להיכנס לאינטרנט ולמצוא הרחבה על כל אחת מהחברות המעורבות במחקרים שהוצגו, על המחקרים עצמם ועל המציגים.

שתיה לכולנו שנה של תוצאות טובות ומקדמות את ריפוי המחלה!

השתתפה בסדנה, תרגמה וערכה

דר' נירה דנגור