

## Proof HD - מחקר קליני שלב 3 של חברת פרילניה

### לבדיקת היעילות של הפרידופידין

תמצית מסדנה מקוונת מיום 27.1.2021 של אגודת HDSA

המרצים בסדנה: דר' סנדרה קוסטיק, נירולוגית וחוקרת מובילה במחקר

דר' אנדריו פייגין, מנהל המחקר ויו"ר קבוצת המחקר של צפון אמריקה ( HSG )

חברת פרילניה בשיתוף עם קבוצת המחקר של מחלת הנטינגטון בצפון אמריקה מגייסת כעת מתנדבים, למחקר קליני שלב 3, לבדיקת יעילות השימוש בתרופה ששמה פרידופידין (Pridopidine). במחקר ישתתפו 480 חולי הנטינגטון, מגילאי 25 ומעלה, שיש להם אבחנה מוכחת של מחלת הנטינגטון והם נמצאים בשלבי המחלה הראשוניים. כלומר קיבלו ציון של 7 ומעלה במדד המקובל לבדיקת התפקוד המוטורי והקוגניטיבי של חולי הנטינגטון).

יש לציין שמדובר בתרופה שבעבר הייתה של חברת טבע ונרכשה לאחר מכן ע"י חברת פרילניה. בעת שעדיין הייתה בחזקת חברת טבע, נערכו 3 מחקרים קליניים שונים שבדקו את מידת הבטיחות והיעילות של התרופה, במדגמים שונים של חולי הנטינגטון. חלק מהמשתתפים באותם מחקרים המשיכו לקבל את התרופה גם לאחר שהסתיים המחקר בו השתתפו, כך שיש היום תוצאות על מדגמים קטנים של חולים שלקחו את התרופה כחמש שנים. ממדגם זה, כמו גם מניסויים מוקדמים שנעשו על מודלים של עכברים "חולי הנטינגטון", עולה שהשימוש בתרופה מנע ולעיתים אף עצר את הירידה הצפויה והמקובלת שגורמת המחלה בתחום של יכולות תפקודיות הקשורות לחיי היום יום.

לא פלא הוא שבמחקר הנוכחי היעד הוא לבדוק עד כמה משפיעה התרופה על מכלול היכולות התפקודיות של החולה כפי שיימדד בכלי הנקרא UHDRS-TFC. המושג TFC כולל אומדן של תפקודים בתחומים כמו ניהול כספים, עצמאות בתפקודי היום-יום, טיפול עצמי, תעסוקה, וביצוע מטלות במשק הבית. יעדי משנה מתייחסים למדידת יכולות בתחום הקוגניטיבי, מוטורי ואיכות חיים.

התרופה פרידופידין אמורה למנוע את הפגיעה שמתרחשת במחלת הנטינגטון, בקולטן במוח המכונה 1 SIGMA, אשר ממלא מספר פונקציות הגנתיות בתאי המוח ובמחלת הנטינגטון כנראה שהוא נפגע וכך נגרמת האצה של תהליך המוות של תאים באזורי המוח האופייניים למחלת הנטינגטון שהם הפוטאמן והסטריאטום ( Putamen and Striatum Caudate Nucleus ). כתוצאה מפגיעה זו, באופן ממוצע, יש ירידה של 1 נקודה במדד היכולות התפקודיות בכל שנה שחולפת. המטרה האופטימלית היא להגיע לאפס ירידה במדד גם אם עוברת שנה...

המחקר יכלול 60 מרכזי מחקר בקנדה ובארצות הברית ו-3 מרכזי מחקר באירופה. 480 המתנדבים, יחולקו לשתי קבוצות: קבוצה שתקבל תרופת דמה, וקבוצה שתקבל 45 מ"ג X 2 של פרידופידין למשך 65 שבועות. מי שירצה בכך, יוכל להמשיך ולקבל ללא עלות את התרופה גם לאחר תום תקופת המחקר.

בגלל מגבלות הקורונה רוב המעקבים אחרי משתתפי המחקר יהיו בטלפון או במייל והמשתתף יתבקש להגיע למרכז המחקר רק למספר מצומצם של ביקורים. המעקב אחר המשתתפים כולל בדיקת דם, אבחונים במספר כלי הערכה, שיחה עם החוקרים. לא יבוצעו בדיקות פולשניות או סריקות ממוחשבות של המוח.

חברת פרילניה, שוקלת כעת את האפשרות, לקיים בעתיד מחקר דומה על אנשים שהם נשאי הגן המוטנטי אך טרם פיתחו תסמינים גלויים של המחלה.

פרטים נוספים נמצא למצוא באתר של קבוצת המחקר של צפון אמריקה ( [Huntingtonstudygroup.org/proof-hd](http://Huntingtonstudygroup.org/proof-hd) ), בחלק על מחקרים על מחלת הנטינגטון ( HD trial founder ) או באתר של חברת פרילניה ( [www.prilenia.com](http://www.prilenia.com) ).

השתתפה בסדנה, תרגמה וערכה: דר' נירה דנגור