



עמותת הנטינגטון בישראל (ע.ר.)

המחקר של חברת רוש- מה קורה ומה עומד לקרות?

תקציר סדנה מקוונת מיום 26.3.21 שארגן EHA

בין המשתתפים בפאנל המומחים: פרופ' שרה טבריזי, פרופ' אן רוסאר, פרופ' ברנרד לאנדוארמאייר, מר רוב הסלברג, אסטרי ארנסן ופיליפה חוליו (EHA), נציגי חברת רוש.

השתתפו בסדנה 297 אנשים, למעלה מ- 60% מהמשתתפים היו חולים ובני משפחה, מכעשרים וחמש ארצות. הרקע לסדנה ההחלטה של חברת רוש להפסיק, לפחות זמנית, את מתן תרופת טומינרסן הן למשתתפים בשלב 3 של מחקרם (GENERATION HD1) והן למשתתפים משלב המחקר הראשון שקבלו הארכה בלתי מוגבלת במתן התרופה.

מה קרה? למה? מה ההשלכות המיידיות ולטווח ארוך של ההחלטה בהתייחס למשתתפים במחקר ובכללי? כרגע יש יותר שאלות מתשובות, אך פאנל המומחים ניסה במהלך הסדנה להבהיר את המצב ולתת לוח זמנים כלשהו להתבהרות המצב.

המידע העיקרי נשען על הודעה לעיתונות שפרסמה רוש ב- 22 למרץ, לפיה בהתאם ליעוץ שקבלה החברה מועדת מומחים בלתי תלויה שניטרה את תוצאות המחקר מתחילתו ועד עתה, (IDMC) לא מצאה שיש מקום להמשך הזרקת תרופת הטומינרסן. השיקולים העיקריים אינם בתחום בטיחות התרופה אלא בתחום של עלות תועלת, כלומר האם המשך המחקר יוכיח שיש רווח משמעותי בקרב מי שמקבל את תרופת הניסוי. ועדה כזו מלווה את מרבית המחקרים הקליניים ואין לחבריה קשר לחברת התרופות, לנחקרים או לרופאים המלווים את המשתתפים. חבריה הם רופאים, רוקחים, סטטיסטיקאים ומומחים בעיצוב מחקרים. יש להם גישה לתוצאות של כלל המשתתפים במחקר והם מקבלים מידע מי בקבוצת הניסוי ומי מקבל תרופת דמה.

מההודעה הקצרה של חברת רוש קשה מאוד לדעת מה עומד בבסיס ההמלצות של הועדה אבל תיאורטית זה יכול להיות אולי שהתוצאות שנצפו בקבוצת הניסוי שמקבלת את התרופה שוות או אף גרועות לעומת התוצאות של מקבלי תרופת הדמה, או שהמינון שניתן אינו מביא לתוצאות המקוות

(כלומר שאין האטה משמעותית במהלך המחלה ואין שיפור תפקוד).

נכון לעכשיו, למרות שהזרקת התרופה נעצרה, פנתה חברת רוש לכל משתתפי המחקר להמשיך בו ולהגיע למפגשי ההערכה התקופתיים, לפחות עד שהחברה תקבל לידיה את כל החומר מהועדה הבלתי תלויה, תנתח את הממצאים ותביא אותם לידיעת כל בעלי העניין: משתתפי המחקר, בני המשפחות, הרופאים וצוותי המחקר, עמותות חולים והציבור הרחב. צריך לקחת בחשבון שיש תוצאות של המחקר שאפשר יחסית לנתח אותן כמו בדיקות דם, בדיקות נוזל השדרה לאומדן רמת החלבון המוטנטי, אבל בדיקות אחרות כמו סריקות ממוחשבות של המוח או NFL, ייקח לרוש כמה חודשים עד שתגמר בחינת כלל הממצאים. לכן בשלב ראשון צפויה רוש לפרסם תוצאות חלקיות ולא סופיות.

ארגון CHDI מתכנן לקיים בסוף אפריל כנס מיוחד שבו מקווים לשמוע מרוש עדכון ראשוני לגבי תוצאות המחקר עד עתה.

חשוב לציין, שברור שייעשו מאמצים למצוא את אותם חולים שהשתתפו במחקר ואשר כן הרוויחו מקבלת התרופה. את אותה קבוצה ינסו לבדוק יותר לעומק. כבר כעת יש תת קבוצה שמדווחת שמבחינה סובייקטיבית הם חשים שיפור במצבם וחשוב לבדוק אם יש תימוכין אובייקטיבים לדיווח של תת קבוצה זו.

כמובן שבסדנה היו הרבה שאלות של חולי הנטינגטון שמשתתפים במחקר- כמו האם כעת אוכל לדעת אם אני בקבוצה שמקבלת תרופת דמה? (לא) האם זו עצירה קבועה או זמנית? (לא ידוע עדיין) מה קורה אם אני רוצה לעבור עכשיו למחקר של חברה אחרת? (חייב בתקופת צינון) האם לא היה כדאי להתחיל את המחקר גם עם קבוצה של נשאי הגן שעדיין אין להם תסמינים? (אולי?) אולי ההחלטה של רוש היא בגלל סיבות כלכליות? (לא) אולי התוצאות שראתה הועדה קשורות לזה שתרופת הטינרסן אינה מבדילה בין החלבון התקין למוטנטי? (עדין לא ידוע)

האם יכול להיות שיש שיפור במצב אבל לא מגיעים ליעד של שיפור של 50% לפחות? (עדין לא ידוע) אפשר לפנות לרוש ולבקש להמשיך לקבל את התרופה בינתיים כטיפול חמלה? (לא)

משתתפי המחקר והצוותים המקצועיים במרכזי המחקר השונים קבלו את ההודעה של חברת רוש בתדהמה, צער, ייאוש, אבל, הלם, משבר. אבל כל החוקרים שהשתתפו בפאנל עמדו בתוקף על דעתם שהמחקרים הקליניים השונים שעוסקים בתחום של האטת מהלך המחלה או טיפול גני יימשכו ושהמחויבות של החוקרים, אנשי המקצוע וחברות התרופות לחיפוש תרופה למחלת הטיננגטון לא תיעצר, אבל כנראה שיש לקחים שחובה ללמוד אותם להמשך הדרך.

רשמה וסיכמה: דר' נירה דנגור