

## GENERATION HD 2

### מחקר קליני מתחדש של חברת רוש

#### תמצית הרצאה של נציגי רוש בכנס EHDN, בולוניה, ספטמבר 2022

המחקר החדש של רוש, מתבסס על תוצאות ומסקנות מחקרה הראשון של החברה בתרופת הטומינרסן. מדובר במחקר קליני, שלב 2, שאמור להתחיל בתחילת 2023. הוא אמור לגייס 360 משתתפים מ-15 ארצות: ארגנטינה, אוסטרליה, קנדה, דנמרק, צרפת, גרמניה, איטליה, ניו זילנד, פולין, פורטוגל, ספרד, שווייץ, אנגליה, ארה"ב, אוסטרליה.

מטרת המחקר: בדיקת היעילות והבטיחות + שימוש בביומרקרים לבחינת התרופה טומינרסן. המשתתפים במחקר לא יכללו את מי שהשתתף ב- GENERATION HD1. מוזמנים להתנדב חולי הנטינגטון בשלבי מחלה ראשוניים או נשאי הגן המוטנטי בשלב המקדים לאבחון המחלה (PRODRIMAL) בגילאי 25-50.

המשתתפים, שחלקם יקבלו תרופת דמה, ייחשפו לשני מינונים של התרופה: 100 מג או 60 מג. התרופה תוזרק לעמוד השדרה פעם בארבעה חודשים. משך הניסוי לכל משתתף 16 חודשים. את הניסוי תלווה ועדת ניטור עצמאית (כלומר, חוקרים בלתי תלויים שאינם עובדי רוש), שתבדוק כל 4 חודשים תוצאות בהתייחס לבטיחות ויעילות ולמדדים ביולוגיים שיאספו כחלק מהמחקר.

לסיכום: במחקר הנוכחי יעשה שימוש במינונים נמוכים יותר של התרופה, בתדירות פחותה ובקרב אוכלוסייה בשלבים מוקדמים יותר של המחלה.

במחקר המתוכנן, יעשה שימוש נרחב באמצעים דיגיטליים לאיסוף נתונים. כל משתתף יקבל מהחוקרים שעון חכם ונייד חכם שיאפשר מדידה יומית, שבועית או חודשית של נתונים. בעזרת השעון או הנייד יאספו נתונים ויעברו לחוקרים ONLINE, על ידי המשתתף. זה יכול לכלול נתונים כמו תפקודים מוטוריים שונים, ביצועים של תפקידים ומטלות בבית, מדדים ביולוגיים שונים ועוד. הנתונים יאפשרו ניטור מיידי של קצב התקדמות המחלה ושינויים בתפקוד של המשתתף גם בתחום הקוגניטיבי. חברת רוש השתמשה כבר בעבר בדיגיטציה במחקרים שונים שבמצטבר כללו כ-1000 חולי הנטינגטון. נמצא, שהניטור הדיגיטלי מאפשר לזהות שינוי בצורה מהירה ומדויקת יותר בהשוואה להערכות תקופתיות בכלי הערכה רגילים. האבחון המוקדם חשוב בכלל, אך בפרט בקבוצה של פרה סימפטומים.

השימוש בדיגיטציה לא חף מקשיים ודילמות אתיות שעליהן יש לתת את הדעת כבר כעת-

1. סוגיית מתן תוצאות למשתתף - "ברוטו" או לאחר שעברו את העין של החוקר או הרופא המטפל?
2. מדידת נתונים מהבית והקלדתם דורשת יזימה ואקטיביות של המשתתף. תכונות שלא תמיד זמינות אצל חולי הנטינגטון. מכאן גם חשש להכבדה על המטפל הראשוני.
3. אבטחת ושמירת הנתונים.
4. שמירה על הפרטיות.

למי שמתעניין ביותר פרטים על המחקר ניתן להיכנס לאחד מהאתרים הבאים:

HDYO

ForPatients.Roche.com

ClinicalTrials.gov