

## לקראת ניסוי קליני נוסף של חברת רוש בתרופת הטומינרסן

תמצית סדנה מקוונת של ארגון HDSA מיום 8.2.2023 בהשתתפות דר' לורין בואק ודר' פיטר מק-קלוגן מחברת רוש, שוויץ.

רבים מכם בוודאי זוכרים את האכזבה שחשנו כאשר בתחילת 2021, התבשרנו על הפסקת הניסוי שלב 3 של חברת רוש בתרופת הטומינרסן. מדובר בתרופה ניסיונית שטרם אושרה על ידי ה-FDA. התקווה היא שאם ימצא המינון הנכון היא אכן תביא להפחתה ברמת החלבון המוטנטי במוח ולהאטה בקצב התפתחות המחלה. מדובר בתרופה שמוזרקת לנוזל השדרה דרך עמוד השדרה ודרכו היא מועברת למוח.

המחקר החדש שאמור להתחיל במהלך שנת 2023, נקרא GENERATION HD 2 והוא מחקר שלב 2. כלומר, אם התוצאות תהיינה מעודדות, ייתכן ורוש תצטרך להתקדם גם לשלב 3 דבר המאריך בלא מעט שנים את תקופת המחקר. מטרת שלב 2 של המחקר היא למצוא את המינון הנכון של התרופה ואת קצב מתן התרופה. המחקר כולל אשכול גדול של מדדים ביולוגיים, כולל מדידה של מרכיבים שונים של נוזל השדרה, בדיקות דם וסריקות ממוחשבות של המוח. המחקר הנוכחי מתבסס על התוצאות והמסקנות של GENERATION HD1. כמו כן תתבצע הערכה של היכולות התפקודיות של המשתתף בחיי היום יום בכלי ששמו (Unified HD Rating Scale) וייבדק התפקוד של האדם בתחומי חיים מרכזיים בכלי ששמו (TFC) Total Functional Scores).

בגדול, המשתתפים במחקר החדש יהיו צעירים יותר ( גילאי 25 עד 50 ), עם עומס מחלה מופחת וזאת בהשוואה למשתתפים במחקר הקודם.

נוסף לקריטריונים לבחירת המשתתפים גם מדד שנקרא CAP. מדד זה הוא המכפלה של גיל, מספר חזרות ומקדם מסוים. למחקר יכנסו רק מי שמדד ה-CAP שלו הוא 400 – 500 .

המשתתפים במחקר יהיו חולים בשלבי מחלה ראשוניים של (300) ואנשים שהם נשאי הגן המוטנטי קרוב לגיל המשוער של תחילת התסמינים (60).

360 המשתתפים יחולקו לשלוש קבוצות מחקר:

- 120 (מתוכם 20 נשאים) יקבלו 100 מ"ג טומינרסן זריקה פעם ב- 16 שבועות
- 120 (מתוכם 20 נשאים) יקבלו 60 מ"ג טומינרסן, זריקה פעם ב- 16 שבועות
- 120 (מתוכם 20 נשאים) תרופת דמה, זריקה פעם ב- 16 שבועות

משך המחקר 16 חודשים. המתנדב הראשון למחקר יוכל להמשיך ולקבל את התרופה עד ליום שבו המשתתף האחרון שגויס למחקר ישלים 16 חודשים ( open label extension ) .

המעקב אחר המשתתפים כולל 7 ביקורים במרכז המחקר + מעקב טלפוני.

ועדת ניטור עצמאית תעקוב אחר התוצאות כל 4 עד 6 חודשים.

מרכזי המחקר שישתתפו הם מהארצות הבאות: קנדה, ארה"ב, דנמרק, אנגליה, צרפת, ספרד, פורטוגל, איטליה, ארגנטינה, אוסטרליה, ניו זילנד, פולין, גרמניה, אוסטריה, שווייץ.

ההערכה היא, שמרגע תחילת המחקר ועד קבלה וניתוח התוצאות מדובר ב26 עד 30 חודש.

למי שמעוניין בעדכונים והרחבות ניתן להיכנס לאתר של NIH בכתובת הבאה:

ClinicalTrials.gov , identifier number 05686551

הכנת חומר ותרגום: דר' נירה דנגור