

18 יוני, 2024

### רשות המזון והתרופות (FDA) מקדמת את התרופה AMT 130 של חברת UNIQURE ( \* )

בחודשים הקרובים תנסה חברת uniQure לקדם דיאלוג עם ה-FDA לגבי התרופה AMT 130. זו תרופה בגישה של טיפול גני המכוונת לעזור לחולי הנטינגטון בשלבי מחלה ראשוניים. כחלק מהשיג הזה תציג החברה תוצאות ביניים של שלב 1/2 של הניסויים הקליניים בתרופה שנערכים כבר כשלוש שנים בארה"ב ובאירופה. חשוב לציין שחברת יוניקור מתמחה בפיתוח תרופות בתחום של טיפול גני ( Gene Therapy ) למחלות גנטיות שונות.

המחקר בחולי הנטינגטון בשלבי מחלה ראשוניים כולל התערבות פולשנית, חד פעמית. מדובר בניתוח ראש שבו נעשה חור בקרקפת על ידי נירו כירורג. הניתוח נמשך לפחות 12 שעות שבמהלכן מזריקים באיטיות את התרופה לאזור ספציפי במוח. לאחר הניתוח יש צורך באשפוז של מספר ימים.

AMT 130 היא תרופה שאמורה לצמצם ואולי אף למנוע את המשך יצור חלבון הנטינגטין מוטנטי בתאי המוח.. הניסוי כולל קבוצה שמקבלת מינון גבוה של התרופה+ קבוצת ביקורת , וקבוצה שמקבלת מינון נמוך של התרופה + קבוצת ביקורת . משך הניסוי כולל מעקב פעם בשלושה חודשים בשנתיים הראשונות, ופעם בחצי שנה מעקב בשנה השלישית עד החמישית, סה"כ 60 חודש. התקווה או ההנחה היא שהמתן החד פעמי של התרופה בניתוח פולשני יהיה בעל השפעה לטווח ארוך.

### מה התוצאות המרכזיות עד עתה?

1. בחלק מהחולים יש תגובת עוררות סוערת במוח לאחר הניתוח שדורשת התערבות תרופתית. אצל מספר משתתפים שקבלו מינון גבוה של התרופה נצפו תופעות לוואי קשות דבר שגרם לעצירה זמנית של הניסוי בקבוצה של מקבלי המינון הגבוה.
2. הניתוח נעשה באזורים במוח שהם מראש פגיעים וסובלים מנזקים עקב מחלת הנטינגטון.
3. התרופה פוגעת גם בחלבון המוטנטי וגם בחלבון הנטינגטין הרגיל.
4. רק חולים בודדים נמצאים כבר במעקב מעל שנתיים. זה אומר שאם משך הניסוי לא יקוצר , החולה האחרון יגיע למעקב בחודש השישים בסוף שנת 2028.
5. מהבודדים שכן הגיעו למעקב למעלה משנתיים נמצא שיש שיפור במדדים כמו רעד, כוריאה, תפקוד יומיומי.

בהתבסס על הפוטנציאל שאולי טמון ב-AMT 130, העניק ה-FDA לתרופה את הסטטוס ( Regenerative ) RMAT (Medicine Advanced Therapy) (\*\*). זהו סטטוס שניתן למחקרים שעוסקים בבעיות רפואיות שעדיין אין להן פתרון. מתן הסטטוס הזה התבסס על תוצאות שלב 1/2 של המחקר שכלל 24 חודש והשווה בין השאר בין מצבם של מקבלי התרופה למצבם של חולים שלא מקבלים אותה. במחצית השנייה של 2024 אמורה חברת UNIQURE להציג בפני ה-FDA תוצאות מעקב של 29 חולים לתקופה של עד 30 חודש.

סטטוס של RMAT מאפשר קיצור והאצת תהליכי מחקר ושת"פ הדוק מול ה-FDA כולל בשלב של אישור רגולטורי. כמו כן נותן האישור הנחות והקלות במיסוי לגורמים שהשקיעו כספים בפיתוח התרופה.

### **מקורות:**

Maia Margarita, With FDA on advancing AMT-130. Huntington's Disease News. 14/5/24

uniQure Receives FDA Regenerative Advanced Therapy ( RMAT ) Designation for Investigational Gene Therapy AMT -130 in Huntington's Disease. Provided by GlobeNewswire, June 3 2024.

תרגום וסיכום: דר' נירה דנגור