



7 יולי, 2024

תוצאות מחקריות עם תקווה?

HD BUZZ , No. 370 (*)

ב-20 ליוני, פרסמה חברת PTC Therapeutics תוצאות ראשונות של מחקרה המכונה PIVOT HD , בו השתתפו 32 חולי הנטינגטון. החולים לקחו במשך 12 חודש כדור שסימנו PTC-518 שאמור להנמיך את רמת החלבון המוטנטי במוחם של החולים.

התרופה PTC – 518, פועלת במנגנון שאמור "להסדיר" מחדש את המסר הגנטי השגוי שגורם ליצירת רצף החלבונים המורחב האופייני למחלת הנטינגטון.

הנמכה או אולי אף עצירה של יצירת רצף החלבונים המורחב אמורה להאט ואולי אף לעצור את התקדמות המחלה. בקצרה, ניתן לומר ש PTC-518 פועל לארגון מחדש של המסר הגנטי הנמצא במולקולה של הגן המוטנטי.

חשוב לציין שיש מספר חברות תרופות שעורכות ניסויים קליניים כעת, בתרופות עם אותו יעד של האטה או עצירה של המחלה ע"י הנמכת רמת החלבון המוטנטי במוח.

המחקר הנוכחי הוא שלב 2 ומכאן שהתמקד בעיקר בבדיקת הבטיחות של השימוש בתרופה בשני מינונים: 5 או 10 מ"ג, בקרב חולי הנטינגטון בשלבי מחלה ראשוניים ולאורך 12 חודשים. התוצאות של 12 החודשים הן בבחינת מגמות שיש לבדקן במחקר שלב 3 שיכלול מדגם גדול יותר של חולים ויימשך תקופה ארוכה יותר.

התוצאות המרכזיות:

1. לפי בדיקות נוזל השדרה של המשתתפים, ובדיקות דם התרופה הניסיונית מגיעה למוח.
2. עד עתה לא נצפו תופעות לוואי משמעותיות או נזק לתאי המוח.
3. במספר מדדים יש תוצאות המעידות על הנמכת רמת החלבון המוטנטי במוח. בקרב אילו שקבלו 5 מ"ג - 20% , 10 מ"ג - 40%.
4. השפעת התרופה על התפקוד והתסמינים המוטוריים נעשתה בשלושה כלי מדידה שונים. בשלושתם יש מגמה של האטה בקצב התקדמות המחלה בהתייחס לתנועתיות, תפקודי היום-יום וקוגניציה.

יש להיזהר מהסקת מסקנות מאחר ומדובר במדגם קטן ביותר בו 32 המשתתפים התחלקו לשתי קבוצות ניסוי ולשתי קבוצות ביקורת (סה"כ 8 נבדקים בכל קבוצה). המספרים קטנים מדי מכדי הסקת מסקנות אך אולי די בהם להניע את חברת PTC להיערך לשלב 3 של המחקר.

Hernandez Sarah, 21.6.2024

No pivot needed for PTC- 518 , HD BUZZ , No. 370

תרגום ועריכה: דר' נירה דנגור