

מחקר חדש בתחום הריפוי הגני יוצא לדרך

Fox, L. June 23 2025.

HD BUZZ

לאחרונה הודיעה חברת רוש על מיזוג מלא בינה לבין חברת ספארק (SPARK THERAPIUTICS). המיזוג מאפשר לחברת רוש להמשיך ולפתח תרופה בתחום הטיפול הגני של מחלת הנטינגטון. עד למיזוג עסקה חברת ספארק בניסויים בבעלי חיים בחומר המכונה היום 6662 RG.

לאחרונה, הודיעו שתי החברות על מתן התרופה לחולה הנטינגטון ראשון ובכך נפתח השלב הקליני 1/2 של המחקר. החומר המסומן כ- RG 6662 "מאופסן" בתוך וירוס בלתי מזיק המכונה AAV ומוזרק למוח של החולה בהליך נירוכירורגי חד פעמי. התקווה היא שהתרופה תגרום להנמכת רמת חלבון ההנטינגטין הן בגן המוטנטי והן בגן הרגיל.

מדובר בניסוי שיתפרס על מספר שנים ויתקדם בצעדים מדודים.

השלב הראשון יכלול 8 חולי הנטינגטון מארה"ב שנמצאים בשלבי מחלה ראשוניים, כלומר עדיין עצמאיים בטיפול בעצמם וברוב פעולות היום יום. גיל המשתתפים מ- 25 ועד 65, שאובחנו עם לפחות 40 חזרות. תנאי נוסף שיש ליד החולה מטפל ראשוני שיכול ללוות את המשתתף בכל שלבי המחקר.

רק לאחר מעקב של מספר חודשים אחר המשתתף הראשון שקיבל את התרופה יוחלט אם להמשיך בניסוי עם המשתתף השני. ההתקדמות תהיה עקב בצד אגודל ובאופן מאוד זהיר.

ייתכן שאצל המשתתף השני ייעשה שינוי במינון.

השלב השני של הניסוי יכלול הן קבוצת מחקר והן קבוצת ביקורת כאשר מי שיהיה בקבוצת הביקורת יקבל טיפול דמה (כלומר: יעבור את ההליך הניתוחי אך ללא התרופה).

בשלב השלישי למשתתפים שהיו בקבוצת הביקורת יוצע לקבל את התרופה. (לא ברור מהמאמר האם הם יצטרכו לעבור הליך פולשני נוסף)

שלב רביעי כולל מעקב ארוך טווח של כל מי שהשתתף במחקר כדי לבדוק אם אין תופעות לוואי להליך או לתרופה והאם ההתערבות החד פעמית יעילה לאורך זמן. (כלומר, אם בעקבות קבלת התרופה יש עיכוב בהתקדמות המחלה ואולי אף שיפור).

תרגום ועריכה: דר' נירה דנגור