

בני משפחה יקרים,

אנחנו רוצים לעדכן אתכם לגבי מחקר שפורסם נכון לנקודת הזמן הזאת.

מחלת הנטינגטון טופלה בהצלחה בפעם הראשונה

מתוך הודעת uniQure מאתמול לעיתונות:

התוצאות המדווחות הן על מעקב של 36 חודשים אחר משתתפי המחקר שהם חולי הנטינגטון בשלבי מחלה ראשוניים מארה"ב ואנגליה.

בסה"כ 29 מהחולים שחולקו ל 2 תת קבוצות של מינון גבוה (17) ומינון נמוך (12) . בכל תת קבוצה היו גם חולים שקבלו טיפול דמה (10 בסך הכול משתי הקבוצות). בהתחלה היו תופעות לוואי קשות בעיקר סביב הניתוח הניירוכירורגי שארך 12 עד 20 שעות . לכן, יש קבוצה נוספת של 12 חולים שהתנדבו למחקר ב-2022 ואילך שמקבלים חוץ מהתרופה הניסיונית גם תרופות שימנעו דחיית שתל.

כעת הוחל בגיוס נוסף של עוד 6 חולים למחקר.

לגבי תוצאות: התוצאות המעודדות מתייחסות בעיקר לחולים שקבלו amt 130 במינון גבוה. חשוב לזכור שמדובר במתן חד פעמי של התרופה לאזורים ספציפיים במוח ולכן זה מרגש לראות שהתערבות חד פעמית מחזיקה לאורך 3 שנים.

המדדים העיקריים היו כלי הערכה בתחום המוטורי, קוגניטיבי ותפקודי היום יום. בשלושת המדדים הללו יש האטה בהתקדמות המחלה לעומת קבוצות חולים גדולות שהנתונים שלהן נלקחו מ- Enroll hd. ההתקדמות הואטה (אך לא נבלמה לגמרי) ב- 75 % , וגם בממד של הביומרקר שנקרא NFL יש צמצום שמעיד על האטה בתהליך של הרס התאים במוח.

החוקרים מניחים שזו בשורה לא רק לחולי הנטינגטון אלא גם למחלות נירודגנרטיביות נוספות.

בכוונת החברה להגיש ל-FDA בקשה לאישור השימוש בתרופה במהלך 2026.

כתבה:

<https://www.bbc.com/news/articles/cevz13xkxpro>

ראיון BBC:

<https://www.youtube.com/watch?v=bhExSMZt1zs>