

2 אוקטובר, 2025



תוצאות ראשוניות מעודדות מהניסוי של חברת Sky Hawk Therapeutics

בתרופה הניסיונית SKY-0515

מאת דר' רחל הרדינג, HDBUZZ מיום 18.9.2025

הודעה לעיתונות של חברת SKYHAWK מיום 17.9.2025

SKY – 0515 היא תרופה שניתנת דרך הפה ומטרתה להשפיע על ייצור חלבונים שונים בגוף. התרופה "מתבייתת" על המולקולה של ה-RNA ששוכפלה מה-DNA ומעבירה את ההנחיות ליצור חלבונים שונים בגוף. ובמילים של כותבת המאמר:

Sky- 0515 changes how cell process RNA messages.

בין השאר משפיעה התרופה על חלבון הנטינגטין ועל חלבון נוסף שסימנו PMS-1 ואשר לו כנראה תפקיד "בריפוי" של מולקולות DNA והוא משפיע על חלבון הנטינגטין תקין ומוטנטי בו זמנית. לחלבון PMS 1 יש כנראה תפקיד בתופעה של התרחבות הרצף החלבוני המוטנטי של שרשרות ה-CAG (Somatic Expansion).

המחקר של חברת SKYHAWK נערך באוסטרליה וכלל 10 נבדקים שקבלו מינון של 3 מ"ג,

10 נבדקים שקבלו 9 מ"ג של התרופה הניסיונית SKY-0515 ו-6 נבדקים שקבלו תרופת דמה. בתום 84 ימי ניסוי, בבדיקות דם, נמצאה ירידה של 62% ברמת החלבון המוטנטי הנטינגטין בקבוצה שקבלה 9 מ"ג של התרופה. בקבוצה שקבלה את המינון הנמוך הירידה היא של 29% בלבד. החוקרים מדווחים שלא התגלו תופעות לוואי משמעותיות והתרופה הגיעה בצורה יעילה למוח. זו תוצאה מרתקת מאחר וכל ההתערבויות הניסיוניות האחרות שמדווחות בניסויים קליניים אחרים משתמשות בטכניקה פולשנית (כמו הזרקה לעמוד השדרה) וכאן מדובר בבליעת כדור דרך הפה. גם לגבי רמת ה-PMS1 בדם יש תוצאות מעודדות כך שאולי יש כאן טיפול אחד שמטפל בשני גורמים שתורמים לתהליך הפתולוגי במחלת הנטינגטון.

למרבה הצער החברה לא פרסמה תוצאות מדויקות ומלאות של המחקר והיא מעדכנת שתוצאות מלאות יפורסמו רק באמצע 2026. עד אז יוכלו התוצאות להתייחס לשימוש בתרופה לאורך 12 חודשים. במקביל החל שלב 2/3 של המחקר שיכלול 120 חולי הנטינגטון בשלבי מחלה 2 ותחילת 3, והמשתתפים יגויסו באוסטרליה ובניו זילנד. המחקר ייקרא FALCON-HD ובו ייבדק אם השימוש בתרופה משפר או לפחות משמר את התנועות המוטוריות, הקוגניציה ותפקודי היומיום. כמו כן ייבדק אם יש שיפור או שינוי לטובה באתרי המוח שניזוקים במחלה.

למרות המדגם הקטן והזהירות הנדרשת במשמעות התוצאות, זהו עוד צעד קטן בשדה שבו
נבדקות כעת גישות שונות להנמכת רמת החלבון הנטינגטין המוטנטי במוח.

תרגום ועריכה- דר' נירה דנגור