



8 יוני, 2026

## חברת SKYHAWK מדווחת על תוצאות מעודדות

### ממחקרה שלב 1/2

Harding Rachel, HD BUZZ , 1 June 2026

בהודעה לעיתונות של חברת SKYHAWK מיום 1.6.2026, מדווח על תוצאות מעודדות בניסוי שעושה החברה בתרופה SKY-0515, שמיועדת להנמכת רמת החלבון המוטנטי במוח. מדובר בכדור שניתן פעם ביום, למשך 12 חודש. אצל המשתתפים חולי הנטינגטון בשלבי מחלה ראשוניים שקבלו את הכדור במינון של 9 מ"ג, מדובר בהנמכה של 69% ברמת החלבון המוטנטי במוח. התרופה נמצאה בטוחה וללא תופעות לוואי משמעותיות. בנוסף לכך דווח על הנמכה של 26% בנוכחות של חלבון שסימנו PMS 1 שהוא חלבון שמקושר לתופעה של הרחבה סומטית= ההגדלה במספר רצף חזרות CAG.

עם זאת חשוב להדגיש ששלב 1/2 של המחקר כלל מדגם קטן, ללא קבוצת ביקורת כחלק מהמחקר אלא בהשוואה למדגמים של חולי הנטינגטון שמצויים במאגרי נתונים גדולים כמו ENROLLHD, ואשר משקפים את המהלך הטבעי של התקדמות המחלה.

מדובר בחידוש חשוב כאשר התרופה ניתנת ככדור לבליעה פעם ביום ואין צורך בהתערבות נירוקירורגית פולשנית או במתן זריקה לעמוד השדרה. אם אכן הכדור יביא לתוצאות המקוות הוא יהווה הקלה ניכרת לחולים ולבני המשפחה.

חידוש חשוב נוסף שהתרופה מכוונת לשני יעדים: גם לחלבון המוטנטי שגורם למחלה וגם לחלבון שכנראה מעורב בתהליך של הרחבה סומטית שמאוד משפיע על קצב התקדמות המחלה. שתי התופעות הללו הן מרכזיות במכניזם של מחלת הנטינגטון. מכאן ששני היעדים הללו משמשים במחקר הנוכחי ובמחקר ההמשך שעליו נרחיב מיד, כביו מרקרים מרכזיים בהערכת הצלחת התרופה.

בגדול, התרופה הניסיונית SKY-0515 מכוונת לשנות את המסרים הגנטיים שמועברים באמצעות ה-DNA וה-RNA בטכניקה שנקראת SPLICING.

"המסר" שמועבר באמצעות התרופה אמור לגרום לתא במוח להפחית או להפסיק לייצר חלבון הנטינגטין מוטנטי. מדובר בתהליך שדומה למה שקורה במחקר של חברת נוברטיס בתרופה VOTOPLAM.

גם במדדים קליניים- תפקודיים שנמדדו בכלי הערכה ששמו cUHDRS, נמצא שיפור קטן בתפקוד המוטורי והקוגניטיבי בקרב אנשים שנטלו את הכדור למשך 12 חודש. הצפי בבסיסי נתונים הגדולים של ENROLLHD ושל TRACKHD הוא לירידה בתפקוד במשך שנה. עם זאת עדיין לא נמצאה דרך לבדיקה קלינית או תפקודית של ההפחתה של 26% בחלבון המקושר לתהליך ההרחבה הסומטית. מאחר והזירה בגוף בה מתרחשת התופעה הזו הוא קודם כל במוח, יש התלבטות איך ניתן להעריך אם יש שינוי או עצירה של תהליך ההרחבה של רצף ה-CAG.

כאמור, חברת SKYHAWK כבר יצאה לדרך עם מחקר שלב 3 ששמו FALCONHD. החברה השלימה גיוס של 144 חולי הנטינגטון בשלבי מחלה 2 או 3 מאוסטרליה וניו זילנד. כרגע הרחיבה החברה את מספר המדינות ל-8 והם החלו לגייס מדגם של 400 חולים. המשתתפים בשלב 3 של המחקר יחולקו לשתי תת קבוצות שיקבלו את התרופה הניסיונית בשני מינונים שונים + קבוצת ביקורת שתקבל תרופת דמה.

המחקר אמור לתת תשובה ברורה יותר לשתי שאלות מרכזיות:

1. האם מדובר בתרופה שמביאה להאטת קצב התקדמות המחלה?
2. האם התרופה מעכבת או עוצרת את התהליך של הרחבה סומטית?

נעקוב בעניין אחר התפתחות המחקר.

תרגום ועריכה: דר' נירה דנגור