



חברת רוש הודיעה על הפסקת 2 מחקרים בתחום מחלת הנטינגטון

דר' רחל הרדינג, HDBUZZ מיום 9 ליולי 2026

שוב בשורות מאכזבות מחברת רוש. החברה הודיעה על הפסקתם של שני ניסויים קליניים שערכה החברה בשתי תרופות שונות המיועדות לטיפול בחולי הנטינגטון.

1. Generation HD 2 – מדובר בניסוי קליני נוסף בתרופת הטומינרסן. התרופה אמורה

הייתה להנמיך את רמת החלבון הנטינגטין (המוטנטי והרגיל) בנוזל השדרה של חולי הנטינגטון ולהאט את קצב התקדמות המחלה.

כזכור, הניסוי הראשון שלב 3 בטומינרסן נעצר בראשית 2021 לאחר שוועדת מומחים בלתי תלויה בדקה תוצאות ביניים של המחקר וקבעה שהסיכון מהשימוש בתרופה עולה על הסיכוי שהיא תשפר את המצב. Generation HD2 התבסס על ניתוח משני של תוצאות הניסוי הראשון אשר הצביעו על האופציה של חזרה לניסוי עם קבוצה מוגדרת של חולים: צעירים, בתחילת המחלה ועם רצף חזרות מורחב יחסית לא גדול. בניסוי השני נבדקה התרופה במינון של 100 מ"ג, לאורך 16 חודשים מול קבוצת ביקורת שקבלה תרופת דמה. בגדול, אצל מי שקיבל את התרופה לאורך 16 חודש נצפתה ירידה ברמת חלבון הנטינגטין כפי שנמדדה בנוזל של עמוד השדרה, אולם הירידה ברמת החלבון לא באה לביטוי במדדי התפקוד- כלומר לא הייתה האטה בקצב התקדמות המחלה.

על סמך תוצאות אילו החליטה חברת רוש **לא להמשיך** בפיתוח התרופה טומינרסן.

2. Point HD – זהו ניסוי בתרופה שסימנה RG6496 ואשר אמורה הייתה להנמיך **רק**

את רמת החלבון המוטנטי. גם כאן מדובר בקבוצה ספציפית של חולי הנטינגטון שנושאים גרסה גנטית שונה של הרצף המורחב CAG. כמו בתרופת הטומינרסן, גם כאן דובר על הזרקת התרופה לעמוד השדרה. מדובר בניסוי שלב 1 ועד לעצירת הניסוי קבלו רק 3 חולי הנטינגטון את התרופה. ההחלטה לסיים את הניסוי התבססה על תוצאות ממחקרי חיות שנעשו במקביל לניסוי הקליני. תוצאות אילו טרם התפרסמו.

מדובר באכזבה לכל הנוגעים בדבר- לחברת רוש, למשקיעים, לצוותי המדענים והחוקרים ובעיקר לקהילת החולים ומשפחותיהם שבמשך למעלה מעשור 1500 מחוליה התנדבו להשתתף במחקרים של רוש.

למרות זאת, הודיעה חברת רוש שהיא ממשיכה בתכניתה לפתח תרופה (RG 6662)

מהתחום של הטיפול הגני לחולי הנטינגטון ושהיא נשארת מחויבת למאמץ למצוא גישות טיפוליות חדשות לטיפול במחלת הנטינגטון.

תרגום ועריכה: דר' נירה דנגור