

רחל הרדינג, אוגוסט 20, 2026

זריקה בזרוע של תרופה להנמכת רמת החלבון המוטנטי שגורם למחלת הנטינגטון

### **HD Buzz**

SRP-1005 היא תרופה חדשה בתחום של הנמכת רמת הגן המוטנטי שניתנת בזריקה ליד וזאת לעומת תרופות ניסיוניות אחרות עם אותו יעד שדורשות התערבות פולשנית למוח או מתן זריקה בעמוד השדרה... המחקר נמצא בשלב ראשוני ומוקדם מדי לנבא האם בכוחו להיטיב עם חולי הנטינגטון, אבל כבר כעת ניתן לומר שמתן תרופה באמצעות זריקה בוודאי שמקלה על החולה ובני המשפחה. זה המקום להזכיר שחברה אוסטרלית נמצאת כעת בניסוי שלב 2/3 של תרופה שנלקחת בכדור וגם היא מכוונת להשיג הנמכה של רמת החלבון המוטנטי במוחו של החולה.

גם התרופה החדשה מיועדת לפעול על ה-RNA Messenger שמניע את תהליך יצור הגן המוטנטי שגורם למחלה. התרופה מוזרקת מתחת לעור במטרה "לחבור" לחלבון מסוים שבאופן שגורתי מסייע בהעברת ברזל למוח, וכך מקווים להתגבר על מחסום הדם שמונע מחומרים שונים להסתנן למוח. עם זאת חשוב לציין, שבדיקת תוצאות המחקר תתבצע בין השאר בדרך המוכרת של שאיבת נוזל מוח מעמוד השדרה.

בכוונת החוקרים לגייס בשלב הראשון של המחקר, ששמו INSIGHTT, 32 חולי הנטינגטון מניו זילנד, גילאי 21 עד 70, שברשותם אבחון גנטי שמאשר את מספר חזרות ה-CAG ואשר נמצאים בשלב 2 או 3 של המחלה.

כל 8 מתנדבים יהוו תת קבוצה: קבוצה שתקבל טיפול עם תרופת דמה, ו-3 קבוצות שכל אחת מהן תקבל מינון עולה של התרופה הניסיונית.. הטיפול יינתן במשך 3 שבועות, אחת לשבוע והמעקב ימשך 24 שבועות. השלב הראשון של המחקר מכוון לבדוק אך ורק סוגיות של בטיחות השימוש בתרופה כולל מעקב אחר המינונים השונים, תופעות לוואי ורמת ה-SRP-1005 בבדיקות דם, שתן ונוזל השדרה. המחקר צפוי להסתיים בסוף 2027.

אחד ההיבטים החשובים שיבדקו: האם התרופה מגיעה למוח ו/או לאזורים ספציפיים במוח.

רק בשלבי מחקר נוספים ( אם יהיו ) , תבדק יעילות התרופה בהתייחס לרמת החלבון המוטנטי במוח, יבחן מה המינון הנכון, האם לאורך זמן יש לחזור על הזריקות וכו'.

תרגום ועריכה: דר' נירה דנגור