



درمان اختلال عصبی می تواند برای بیماران مبتلا به بیماری هانتینگتون مورد استفاده مجدد قرار گیرد.

شرکت داروسازی نوارتیس کشف کرد که این دارو ممکن است برای افراد مبتلا به بیماری هانتینگتون (HD) درمان نویدبخش داشته باشد. سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) به براناپلام وضعیت ویژه‌ای به نام "طراحی داروی نادر" اختصاص داده است.

ویراستاری شده توسط [Dr Leora Fox](#)

در ابتدا در تاریخ 22 اکتبر 2020 منتشر شده

7 سپتامبر

2023

توسط [Dr Rachel](#)

[Harding](#)

ترجمه شده توسط [Rezvan Hakimi](#) است

در حین توسعه یک داروی به نام براناپلام برای بیماران مبتلا به اختلال حرکتی عصبی اسپینوموسکولار آتروفی (SMA)، شرکت داروسازی نوارتیس کشف کرد که این دارو ممکن است برای افراد مبتلا به بیماری هانتینگتون (HD) درمان نویدبخش داشته باشد. سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) به براناپلام وضعیت ویژه‌ای به نام "طراحی داروی نادر" یا داروی نادر (Orphan Drug Designation) اختصاص داده است.

داروی موجودی برای کاهش Huntingtin؟

شرکت داروسازی نوارتیس اعلام کرده است که اداره غذا و داروی ایالات متحده (FDA) وضعیت داروی نادر را به براناپلام برای درمان بیماری هانتینگتون اختصاص داده است.

براناپلام در ابتدا برای درمان اختلال عصبی آتروفی عضلانی نخاعی (SMA) ساخته شد و هنوز برای این منظور تحت بررسی بالینی است. براناپلام با تداخل در نحوه پردازش پیام های ژنتیکی در سلول ها عمل می کند و می تواند سطح پروتئینی به نام SMN2 را افزایش دهد. افزایش سطح SMN2 به بیماران SMA که سطوح پایین تری از این پروتئین دارند که در بسیاری از موارد علت اصلی بیماری است، کمک می کند.

جالب اینجاست که به نظر می رسد براناپلام سطح پیام ژن هانتینگتین و پروتئین هانتینگتین را نیز کاهش می دهد. این همان چیزی است که هدف درمان های کاهش دهنده هانتینگتون است و بسیاری از محققان و شرکت ها امیدوارند بیماری هانتینگتون را درمان کنند.

درمان های کاهش دهنده هانتینگتین که در حال حاضر در آزمایش های بالینی هستند، باید از طریق تزریق ستون فقرات یا جراحی مغز انجام شوند. برخلاف اینها، براناپلام یک داروی مولکولی کوچک است، به این معنی که می توان آن را به صورت قرص مصرف کرد. اگر Novartis بتواند نشان دهد که براناپلام یک درمان موثر برای HD است، به این معنی است که می توان آن را به عنوان یک قرص تجویز کرد، گزینه مناسب تری برای بیماران HD!

نامگذاری داروی نادر - و آینده

تصمیم FDA برای اعطای وضعیت دارویی یتیم یا نادر معمولاً زمانی انجام می شود که دارویی برای درمان بیماری نادری مانند بیماری هانتینگتون در حال تولید باشد. اعطای وضعیت دارویی نادر می تواند مزایا و مشوق هایی را برای شرکتی که دارو را تولید کرده است، در این مورد Novartis، ایجاد کند تا توسعه داروهای جدید برای بیماری ها را با جمعیت کمی از بیماران در این شرکتها تشویق کند.

هنوز چیزهای زیادی وجود دارد که دانشمندان در مورد استفاده از براناپلام برای درمان بیماران HD درک نمی کنند. انتظار می رود که درمان های مبتنی بر قرص روی کل بدن، نه فقط روی مغز، اثر بگذارند و خیلی واضح نیست که کاهش هانتینگتین در همه جا چه اثراتی می تواند داشته باشد. علاوه بر این، ما قبلاً می دانیم که براناپلام می تواند سطوح SMN2 و هانتینگتین را تغییر دهد، بنابراین احتمالاً ممکن است سطح سایر پروتئین ها نیز با درمان براناپلام تغییر کند. بدون درک کامل و دقیق چیزی که دانشمندان آن را «مکانیسم اثر» دارو می نامند، این امر می تواند بررسی دقیق چگونگی تغییر علائم HD را درمان براناپلام پیچیده کند. خبر خوب این است که این دارو قبلاً در گروه های کوچکی از بیماران SMA ایمن بوده است.

Novartis اکنون در حال طراحی فاز دوم کارآزمایی بالینی برای بیماران مبتلا به HD است که برای راه اندازی در سال 2021 برنامه ریزی شده است. امیدواریم به زودی به روز رسانی های بیشتری را برای شما ارائه دهیم!

دکتر ریچل هاردینگ هیچ تضاد منافی را اعلام نمی کند. دکتر لئورا فاکس برای انجمن بیماری هانتینگتون آمریکا کار می کند. HDSA با شرکت نامبرده در این مقاله Novartis ارتباط دارد و با آن قرارداد عدم افشای اطلاعات دارد. برای اطلاعات بیشتر در مورد خط مشی افشای ما، به سوالات متداول ما مراجعه کنید...

واژه نامه

پروتئین هانتینگتین پروتئین تولید شده توسط ژن هانتینگتون

کارآزمایی بالینی آزمایش هایی با برنامه ریزی بسیار دقیق برای پاسخ به سؤالاتی خاص که در مورد چگونگی تأثیر دارو بر انسان طراحی شده اند

© HDBuzz 2011-2024. اشتراک گذاری محتوای HDBuzz تحت Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License رایگان است.

HDBuzz منبع توصیه های پزشکی نیست. برای اطلاعات بیشتر hdbuzz.net را ویزیت کنید در تاریخ 22 فوریه 2024 ایجاد شده است — از <https://fa.hdbuzz.net/294> دانلود شده است