



## مصاحبه: پرسش و پاسخ با راش درباره GENERATION-HD1

تیم HDBuzz (به طور مجازی) برای یک جلسه پرسش و پاسخ عمیق با تیم راش نشستند تا به پرسش های مربوط به تومینرسن و توقف اخیر آزمایش GENERATION-HD1 پاسخ دهند.

14 سپتامبر  
2023

توسط Dr Leora و Dr Sarah Hernandez  
Fox

ترجمه شده توسط Hamze  
Rahmani

ویراستاری شده توسط Dr Jeff  
Carroll

در ابتدا در تاریخ 28 سپتامبر 2021 منتشر شده است

در پایان روز اول کنفرانس شبکه بیماری هانتینگتون اروپایی (EHDN)، تیم HDBuzz (به جز یک نفر) در گفتگوی آنلاین در بستر zoom با تیم شرکت راش نشستند تا درباره وقفه اخیر GENERATION-HD1، کارآزمایی بالینی فاز 3، که توانایی الیگونوکلوئوتید ضدحس تومینرسن را برای کاهش هانتینگتین و بهبود نتایج برای بیماران هانتینگتون آزمایش می کرد، بحثی صمیمانه و صریح داشته باشند. ما با دکتر لورن بواک، رهبر توسعه جهانی برنامه تومینرسن در شرکت راش، دیوید وست، مدیر مشارکت بیماران در سازمان مشارکت جهانی بیماران راش، و جیت رفتی، رهبر ارتباطات بین المللی که ارتباطات خارجی برنامه هانتینگتون را مدیریت می کند، صحبت کردیم. در زیر، نسخه هایی از سوالاتی را که از کارکنان راش پرسیدیم و خلاصه ای از پاسخ های آن ها، که از رونوشت خودکار مصاحبه ضبط شده گرفته شده است، خواهید دید. نقل قول های مستقیم از کارکنان راش با "نشان نقل قول" نشان داده می شود، همه چیز خارج از این نقل قول ها خلاصه هایی است که توسط نویسندگان HDBUZZ نوشته شده است، نه نقل قول های مستقیم.

### درک وضعیت فعلی کارآزمایی:

پرسش: در حالی که مرحله تعیین دوز برای کارآزمایی رسماً متوقف شده است، خود کارآزمایی در حال انجام است - می توانید وضعیت فعلی کارآزمایی را توضیح دهید؟

پاسخ: طبق روال استاندارد به دلایل ایمنی، یک کمیته مستقل نظارت بر داده ها به تمام داده های آزمایش GENERATION-HD1 دسترسی داشت و در حال بررسی بود. در ماه مارس، این کمیته توصیه کرد که مرحله تعیین دوز را متوقف کنیم، اما همچنان بیماران را دنبال کنیم تا تاثیر درمان را بر بیماران که داروی تومینرسن دریافت می کنند، بفهمیم. لورن بواک از راش توضیح داد: "این مطالعه قرار است بیماران را در چارچوب مطالعه دنبال کند، بنابراین وقتی آنها برای بازدید از محل می آیند، پزشکان [آنها] را برای ایمنی کلی، بررسی ایمنی، و اقدامات بالینی که در طول دوره کارآزمایی بالینی ذکر شد، دنبال می کنند ... این بخش واقعاً مهمی از ارزیابی آنها از آنچه در GENERATION-HD1 رخ داد، است. مشارکت مستمر از سوی افرادی که در این مطالعه ثبت نام کرده اند به راش این امکان را می دهد که تا حد امکان داده های ارزشمند را برای سرمایه گذاری راش و جوامع در GENERATION-HD1 استخراج کند. این برای درک اینکه چگونه تومینرسن بر بیماران هانتینگتون تأثیر می گذارد بسیار مهم است - حتی اگر نتیجه ای که همه ما انتظارش را داشتیم نداشته باشد. این نوع مجموعه داده های جامع به هدایت آزمایشات آینده کمک می کند. بنابراین در حالی که دوز برای کارآزمایی متوقف شده است، مطالعه به طور رسمی تمام نشده و ادامه دارد.

# درک داده‌هایی که کارآزمایی را متوقف کردند

پرسش: آیا می‌توانید جدول زمانی رویدادهایی را که منجر به توقف GENERATION-HD1 شد، مرور کنید؟ فرآیند انتقال یافته‌های کمیته بررسی نظارت به راش و در نهایت به پزشکان و جامعه چگونه کار می‌کند؟ پاسخ: برای GENERATION-HD1، کمیته بررسی مستقل هر 4 ماه یکبار برای بررسی داده‌های کارآزمایی که تا آن زمان جمع‌آوری شده بود تشکیل جلسه داد. برخلاف هر کس دیگری در راش، کمیته بررسی داده‌های کور نشده را ارزیابی کرد - این بدان معناست که آنها می‌دانستند که هر بیمار در کدام گروه درمانی، چه درمان و چه کنترل قرار دارد. لورن گفت، طی یک جلسه منظم برنامه ریزی شده کمیته بازبینی در روز پنجشنبه، 18 مارس، "آنها ارزیابی کردند که اطلاعات موجود در داده‌ها نشان می‌دهد که دوز باید در همه بخش‌های [آزمایش] متوقف شود." سپس این تصمیم با یک تیم کوچک در راش که آخر هفته در سازماندهی ارتباطات اجتماعی شرکت کرده بودند، در میان گذاشته شد. روز دوشنبه، 22 مارس، راش در یک بیانیه مطبوعاتی اعلام کرد که مرحله تعیین دوز آزمایش GENERATION-HD1 متوقف خواهد شد. آنها همچنین یک خط ارتباطی هماهنگ ایجاد کردند، به طوری که بلافاصله پس از انتشار بیانیه مطبوعاتی، رهبران کارآزمایی را مطلع کردند تا بتوانند به شرکت کنندگان در کارآزمایی اطلاع دهند. همچنین در آن دوشنبه، راش نامه‌های اجتماعی ارسال کرد و با گروه‌های حمایت از بیماران تماس گرفت. اما همانطور که همه ما می‌دانیم، اخبار، چه خوب و چه بد، سریع منتشر میشوند. و اخبار به این بزرگی به این معنی بود که برخی از اعضای انجمن هانتینگتون و حتی شرکت‌کنندگان آزمایشی شنیدند که GENERATION-HD1 در خطوط غیررسمی متوقف شده است. لورن توضیح می‌دهد: "ما درک می‌کنیم که تعجب‌آور بود که برخی افراد این اطلاعات را از منابعی دریافت کردند که انتظارش را نداشتند. اما ما به خاطر شریاطی که در آن قرار داریم محدود بودیم." ممکن است واضح نباشد، اما یکی از دلایلی که نمی‌توان خبر را فوراً با رهبران آزمایشی و شرکت‌کنندگان آزمایشی به اشتراک گذاشت، مربوط به قوانین و مقرراتی است که شرکت‌ها باید از آنها پیروی کنند تا به طور غیرمنصفانه بر بازار سهام تأثیر نگذارند. با مطالعه‌ای در این اندازه و بزرگی، هر گونه اطلاعات مربوط به شکست یا موفقیت دارو می‌تواند بر قیمت سهام تأثیر بگذارد. به همین دلیل، با چنین اخباری، شرکت‌ها موظف هستند قبل از اطلاع‌رسانی مستقیم با هر کسی در مورد نتایج، یک بیانیه مطبوعاتی منتشر کنند.



آزمایش‌هایی در اندازه‌های GENERATION-HD1 داده‌های زیادی تولید می‌کنند - تیم راش اکنون وظیفه سازماندهی و تجزیه و تحلیل بیش از 40000 نمونه را دارد که هر کدام حدود 20000 پارامتر دارند.

پرسش: مراحل بعدی برای تجزیه و تحلیل، انتشار و به اشتراک گذاری داده‌ها از کارآزمایی GENERATION-HD1 در حال انجام چیست؟ چگونه این اطلاعات در جامعه - هم دانشمندان و هم خانواده‌ها - منتشر می‌شود؟

پاسخ: GENERATION-HD1 یک آزمایش بزرگ با داده های زیاد است. علاوه بر این، هیچ کس قصد نداشت که مرحله تعیین دوز را متوقف کند. بنابراین در حالی که همه فکر می کردند زمان بیشتری برای ایجاد یک برنامه برای تجزیه و تحلیل داده ها وجود دارد، در واقع این برنامه ریزی باید اکنون اتفاق بیفتد. اولین گام این است که تمام نمونه هایی را که در هر محل در سراسر جهان جمع آوری شده اند شناسایی کنید و آنها را به یک مکان مرکزی ارسال کنید. لورن توضیح می دهد: "و این یک کار بسیار بزرگ است. ما بیش از 40000 نمونه در این مطالعه داریم. این نمونه ها شامل نمونه های بیمار مانند خون و مایع مغزی نخاعی است که به حمل و نقل و جابجایی خاصی نیاز دارد." پس از جمع آوری و ارسال نمونه، مرحله بعدی تجزیه و تحلیل داده ها خواهد بود. راش می خواهد تا آنجا که می تواند اطلاعات را با این داده ها جمع آوری کند، بنابراین آنها در حال برنامه ریزی یک تجزیه و تحلیل بسیار کامل با استفاده از بسیاری از معیارهای مختلف هستند. تنها چند مورد از مواردی که آنها نگاه خواهند کرد سطوح پروتئین هانتینگتین، NFL و نحوه حرکت تومینرسن در سراسر بدن از پونکچر کمربند به مغز است. لورن گفت: "ما در واقع بیش از 20000 خروجی مختلف داریم، زیرا پارامترهای مختلف زیادی برای ارزیابی وجود دارد." تجزیه و تحلیل 20000 پارامتر از بیش از 40000 نمونه یک مجموعه داده عظیم برای هر حسابی است! برای انجام هر چه سریعتر این تجزیه و تحلیل، راش صدها نفر را در اختیار دارد که به داده ها نگاه می کنند و از یک رویکرد مرحله ای استفاده می کند که در آن نمونه ها به صورت دسته ای اجرا می شوند. پس از تجزیه و تحلیل داده ها، همه آنها باید مورد بررسی قرار گیرند تا تلاش کنیم و بفهمیم که به چه معنا هستند. این مهم ترین بخش است، زیرا همه داده ها در متن قرار می گیرند. هنگامی که راش این آخرین قطعه را داشته باشد، آنچه را که یافته اند با جامعه به اشتراک خواهند گذاشت. لورن می گوید: "و بنابراین، ما هنوز در موقعیتی نیستیم که بتوانیم داده ها را به اشتراک بگذاریم، زیرا نمی خواهیم آن ها را تکه تکه به اشتراک بگذاریم... ما واقعاً می خواهیم مطمئن شویم که وقتی داده ها را با جامعه به اشتراک بگذاریم که بتوانیم تا آنجا که ممکن است توضیح یا توصیف و درک معنای این داده ها را ارائه دهیم."

پرسش: آیا تاریخ پیش بینی شده ای وجود دارد که انتظار دارید کل فرآیند تا آن زمان تکمیل شود؟ چه زمانی بیماران، پزشکان و سایر افراد در جامعه هانتینگتون می توانند انتظار دسترسی به اطلاعات کارآزمایی را داشته باشند؟

پاسخ: متأسفانه، با توجه به وظیفه عظیمی که برای تجزیه و تحلیل تمام داده ها و نمونه هایی که جمع آوری کرده اند، این چیزی نیست که در حال حاضر کسی در راش پاسخ آن را بداند. همانطور که همه ما در جامعه هانتینگتون آموخته ایم، علم نمی تواند به اندازه کافی سریع حرکت کند. لورن می گوید: "اما مطمئن باشید که ما بهترین کار را انجام می دهیم، تا جایی که می توانیم سریع انجام می دهیم و در اسرع وقت آن را با جامعه به اشتراک خواهیم گذاشت."

پرسش: چه درس هایی از GENERATION-HD1 گرفته می شود؟ این درس ها چگونه آزمایش های آتی را پیش می برند؟

پاسخ: کارآزمایی های بالینی برای بررسی سوالات بسیار خاص با نقاط پایانی بسیار خاص طراحی شده اند. این به این دلیل است که در پایان کارآزمایی های بالینی می توان از داده ها استفاده کرد تا نشان دهد که نتایج به طور واضح ناشی از درمان مورد آزمایش بوده است. از آنجایی که GENERATION-HD1 آزمایشی بود که به طور خاص بر روی تومینرسن متمرکز بود، بسیاری از چیزهایی که خواهیم آموخت به طور خاص در مورد تومینرسن خواهد بود. GENERATION-HD1 همچنین برای درمان افرادی با علائم واضح هانتینگتون طراحی شده است. بنابراین، نتایجی که در این کارآزمایی اندازه گیری می شوند، به طور خاص به ما می گویند که تومینرسن در این جمعیت بیمار چگونه کار می کند. طراحی کارآزمایی GENERATION-HD1 بسیار کامل بود و نمونه های زیادی را در مقاطع زمانی مختلف برای مدت طولانی - حتی در گروه دارونما یا کنترل - جمع آوری کرد. بنابراین محققان می توانند به شرکت کنندگان در گروه دارونما نگاه کنند تا روند بیماری را همانطور که به طور کلی رخ می دهد تجزیه و تحلیل کنند. در حالی که این ممکن است بی اهمیت به نظر برسد، این تجزیه و تحلیل ها به

تنهایی یک مجموعه داده جامع و حیاتی را برای درک مسیر هانتینگتون با استفاده از اندازه گیری های بسیار پیچیده فراهم می کند. لورن توضیح می دهد: "کیفیت داده ها بسیار بالا خواهد بود و بنابراین برای [حوزه هانتینگتون]، برای درک تاریخچه طبیعی کلی تغییرات این نشانگرها در هانتینگتون بسیار ارزشمند خواهد بود."

**«لورن می گوید: "و بنابراین، ما هنوز در موقعیتی نیستیم که بتوانیم داده ها را به اشتراک بگذاریم، زیرا نمی خواهیم آن ها را تکه تکه به اشتراک بگذاریم... ما واقعاً می خواهیم مطمئن شویم که وقتی داده ها را با جامعه به اشتراک بگذاریم که بتوانیم تا آنجا که ممکن است توضیح یا توصیف و درک معنای این داده ها را ارائه دهیم."»**

## اگر تومینرسن برای زیرمجموعه ای از بیماران مفید باشد چه می شود:

پرسش: آیا ممکن است تومینرسن برای برخی افراد کار کرده باشد و برای برخی دیگر نه؟ آیا راش تحلیلی را انجام می دهد که به زیرگروه های شرکت کنندگانی که احتمالاً از تومینرسن سود برده اند نگاه کند؟ پاسخ: پاسخ کوتاه برای این پرسش مثبت است. راش در حال تجزیه و تحلیل داده ها به روشی است که تعیین می کند آیا تومینرسن اثرات متفاوتی برای افراد مختلف داشته است یا خیر. لورن می گوید: «ما در حال بررسی ویژگی های بیماران در آغاز کار هستیم که [شرکت کنندگان] این مطالعه را شروع کردند یا مراحل مختلف بیماری را که در آن قرار دارند و اینکه آیا این بدان معناست که آنها پاسخ متفاوتی به دوزهای مختلف آزمایش شده در GENERATION-HD1 دارند.»

پرسش: آیا افرادی که تومینرسن را در GENERATION-HD1 یا افزونه برچسب باز دریافت کرده اند و احساس می کنند که برایشان سودمند است، می توانند برای دسترسی گسترده درخواست دهند، حتی اگر دوز در آزمایش ها متوقف شده باشد؟

پاسخ: متأسفانه پاسخ کوتاه برای این پرسش منفی است. اگرچه راش می داند هنوز ممکن است بیمارانی وجود داشته باشند که بخواهند از تومینرسن استفاده کنند یا به استفاده از آن ادامه دهند، داده ها از یک مزیت خطر مثبت برای استفاده از تومینرسن در هانتینگتون پشتیبانی نمی کنند. هیچ فرصتی برای استفاده دلسوزانه از تومینرسن وجود ندارد، زیرا تاکنون شواهدی مبنی بر اینکه این دارو باعث بهبود علائم هانتینگتون در فردی شود نداریم و متأسفانه می تواند برخی را بدتر کند.

## پایان کارآزمایی

پرسش: آیا شرکت کنندگان GENERATION-HD1 در کارآزمایی می مانند حتی اگر مرحله تعیین دوز به پایان رسیده باشد؟

پاسخ: جای تعجب نیست که جامعه هانتینگتون یک جامعه فوق العاده است - تنها از طریق حمایت و مشارکت بیماران و خانواده های هانتینگتون است که تحقیقات هانتینگتون تا به اینجا رسیده است. لورن می گوید: "ما می توانیم بگوییم که بیش از 85 درصد از بیماران در GENERATION-HD1 ماندند تا دوره درمان خود را در طول 25 ماه کامل کنند، که باورنکردنی است." نتیجه این آزمایش هرچه که باشد، خانواده های هانتینگتون که در آن شرکت کرده اند خدمات بزرگی برای بقیه افراد جامعه انجام داده اند - حتی اگر به نفع خود آنها نبوده باشد. ما به آنها بدهی عمیقی از قدردانی داریم.



برای به دست آوردن هرچه بیشتر دانش از GENERATION-HD1، اعضای تیم راش پس از تجزیه و تحلیل داده‌ها را بررسی می‌کنند تا بفهمند که تومینرسن دقیقاً چگونه بر افرادی که تحت درمان قرار گرفته‌اند تأثیر گذاشته است. مجموعه داده جامعی با این اندازه به آنها امکان می‌دهد تا در مورد دوره کلی بیماری هانتینگتون اطلاعات زیادی کسب کنند.

پرسش: فکر می‌کنید تجربه GENERATION-HD1 چه تأثیری بر ثبت نام کارآمایی‌های آینده در جامعه هانتینگتون برای راش یا سایر شرکت‌ها خواهد داشت؟

پاسخ: متأسفانه کارآمایی‌های بالینی نتیجه تضمین‌شده‌ای ندارند - آزمایش‌های بالینی برای آزمایش‌ها یک دارو عمل می‌کند، انجام می‌شود. مهم نیست که قبلاً چقدر تحقیق در آزمایشگاه انجام شده است. اگرچه GENERATION-HD1 آنطور که همه ما می‌خواستیم به پایان نرسید، هنوز چیزهای زیادی یاد گرفته ایم. نه فقط بر اساس داده‌های تولید شده توسط کارآمایی، بلکه بر اساس تجربه شرکت کنندگان نیز. لورن می‌گوید: "به این معنی است که مردم در مورد پتانسیل‌ها، فراز و نشیب‌ها آگاه‌تر خواهند شد، که هیچ تضمینی وجود ندارد. به همین دلیل است که ما باید این مطالعات بالینی را انجام دهیم." بنابراین در حالی که برخی از اعضای جامعه ممکن است نسبت به آزمایش بعدی احتیاط بیشتری داشته باشند، ممکن است سوالات تخصصی‌تری در مورد شرکت در آزمایش پرسند، که چیز خوبی است.

## آینده کشف داروهای هانتینگتون و تومینرسن در راش:

پرسش: آیا راش برنامه‌هایی برای ادامه توسعه تومینرسن دارد؟ آیا روش‌های درمانی دیگری برای کاهش هانتینگتون یا به طور کلی هانتینگتون وجود دارد که راش در حال توسعه آنها باشد؟

پاسخ: در حال حاضر، سرنوشت تومینرسن ناشناخته است، زیرا هنوز کار زیادی برای انجام دادن وجود دارد تا بفهمیم چرا دارو اثر مطلوب را نداشته است. راش منتظر خواهد بود تا قبل از تصمیم‌گیری در مورد اینکه چگونه به کار با تومینرسن را ادامه دهد، ببیند داده‌ها چه می‌گویند. لورن می‌گوید: "این اطلاعات هنوز در دسترس نیست. ما جوابی نداریم. من جوابی ندارم. اما بدیهی است که به محض اینکه بتوانیم آن را به اشتراک خواهیم گذاشت." اما پاسخ راش به ادامه کار بر روی درمان‌های هانتینگتون واضح است - لورن می‌گوید: "چه تومینرسن ادامه داشته باشد یا نه، تلاش‌های مستمری برای [بیماری] هانتینگتون وجود دارد." آنها یک شرکت تحت چتر گروه راش به نام Spark Therapeutics دارند که یک برنامه هانتینگتون در مراحل اولیه دارد که از فناوری کاملاً متفاوتی برای کاهش سطوح پروتئین هانتینگتون استفاده می‌کند. این بدان معنی است که ما احتمالاً چیزهای بیشتری از تیم راش در ارتباط با هانتینگتون، با یا بدون تومینرسن خواهیم دید.

پرسش: اکنون که افراد راش با افراد شگفت‌انگیز جامعه هانتینگتون آشنا شده‌اند، کسانی که روی تومینرسن کار کرده‌اند چگونه با توقف GENERATION-HD1 برخورد می‌کنند؟

پاسخ: احتمالاً جای تعجب نیست که سرمایه‌گذاری در تحقیقات هانتینگتون به عنوان یک دانشمند آسان است - علم عالی وجود دارد، کارهای فوق‌العاده جالبی در حال انجام است و شاید مهم‌تر از همه، جامعه هانتینگتون

کاملاً شگفت‌انگیز است. لورن احساساتی شد و بیان کرد که دیدن پایان زود هنگام این آزمایش برای او و تیم گسترده راش بسیار سخت بوده است. او می‌گوید: "این ضربه‌ی عاطفی بسیار بزرگی بود، زیرا همه‌ی ما قلب و روح خود را برای آن گذاشته‌ایم." لورن گفت که او و دیگران از جامعه هانتینگتون حمایت دریافت کردند و از اینکه در زمانی که کل جامعه در شوک توقف GENERATION-HD1 بودند، به او و اعضای تیم راش اعتماد شد، قدردانی کرد. تشخیص غیرمنتظره این که کسانی در راش نیز از این خبر ناراحت شدند، گواهی بر انعطاف پذیری جامعه باورنکردنی هانتینگتون است. اما هیچ تعطیلی در راش وجود نداشت. توقف GENERATION-HD1 به این معنی بود که آنها کارهای زیادی برای انجام دادن داشتند. لورن در تلاش برای درک آنچه در کارآزمایی اتفاق افتاد، می‌گوید که "سوار بر اسب بازگشتیم... ما باید این تحلیل‌ها را اجرا کنیم، باید همه چیز را به نتیجه برسانیم."

**«اگرچه راش می‌داند هنوز ممکن است بیماری وجود داشته باشند که بخواهند از تومینرسن استفاده کنند یا به استفاده از آن ادامه دهند، داده‌ها از یک مزیت خطر مثبت برای استفاده از تومینرسن در هانتینگتون پشتیبانی نمی‌کنند. هیچ فرصتی برای استفاده دلسوزانه از تومینرسن وجود ندارد، زیرا تاکنون شواهدی مبنی بر اینکه این دارو باعث بهبود علائم هانتینگتون در فردی شود نداریم و متأسفانه می‌تواند برخی را بدتر کند.»**

## این برای آزمایشات بالینی آینده چه معنایی دارد

پرسش: چه چیزی می‌توانیم از GENERATION-HD1 یاد بگیریم، نه تنها از روند طراحی کارآزمایی و نتایج نهایی مطالعه، بلکه در مورد تعامل با جامعه هانتینگتون؟ با بهره‌مندی از آینده‌نگری، آیا می‌شد کاری متفاوت انجام داد؟

پاسخ: علیرغم نتیجه غیرمنتظره مطالعه، ما از GENERATION-HD1، در مورد هانتینگتون، نحوه عملکرد ASO و نحوه بهبود در دفعه بعد، چیزهای زیادی یاد خواهیم گرفت. کل این حوزه از درک جدیدی از نحوه ترکیب نشانگرهای زیستی دیجیتال مانند داده‌های ساعت‌ها و تلفن‌های هوشمند، اطمینان از ثبت ارزیابی‌های روزانه خانگی و چگونگی آسان‌تر کردن این کار برای افراد مبتلا به هانتینگتون و نحوه جذب موفقیت‌آمیز افراد برای آزمایشی با این اندازه در بیش از 100 مکان در سراسر جهان سود خواهد برد. در مورد پرسش ادراک، لورن بواک تأکید کرد که مانند همه آزمایش‌ها، "طراحی بر اساس اطلاعاتی بود که در آن زمان می‌دانستیم"، اما اذعان داشت که ممکن است راه‌های متفاوتی برای انتخاب مقدار و دفعات دوز وجود داشته باشد. در مطالعه این موضوع طی ارائه‌ای در کنفرانس EHDN توسط دکتر اسکات شوبل، مدیر گروه پزشکی و رهبر علوم بالینی برنامه تومینرسن راش تکرار شد. شاید مهم‌تر از همه، شرکت‌هایی که در فضای هانتینگتون کار می‌کنند می‌توانند از تعهد راش به ترکیب بازخورد اعضای خانواده هانتینگتون از مراحل اولیه در فرآیند به وجود آمدن مطالعه بیاموزند. "ما بسیار خوشحال بودیم که توانستیم با جامعه مشارکت کنیم، حتی در طراحی بالینی و جنبه‌های برنامه‌ریزی و این برای ما بسیار ارزشمند و غنی بوده است. این چیزی است که ما امیدواریم دیگران از آن بیاموزند، زیرا فکر می‌کنم برای برنامه ما بسیار مفید بود... برای مواردی مانند بررسی پروتکل، نحوه درک بیماران از چیزهای خاص، نحوه پرسیدن سوالات در ارزیابی‌های خاص و مسئولیت در مکان‌های بالینی." راش با اعضای HD-COPE و سازمان‌های مربوط به بیماران کار کرده است تا آنچه را که از طریق مشارکت در جامعه آموخته‌اند به اشتراک بگذارد، به طوری که سایر محققین بتوانند این را در آزمایش‌های آینده بگنجانند. این یافته‌ها همچنین به طور رسمی در پوستری در EHDN ارائه شد.

پرسش: راش چگونه تجربیات شرکت‌کنندگان در کارآزمایی را در نظر می‌گیرد که ممکن است خارج از تحلیل‌های استاندارد باشد؟

پاسخ: از زمان انتشار این خبر در ماه مارس، بسیاری از اعضای انجمن داستان‌های شخصی درباره تجربیات خود یا عزیزانشان از شرکت در GENERATION-HD1 به اشتراک گذاشته‌اند. این حکایات مستقیماً از طریق محققین و متخصصان سایت درگیر در مطالعه و از طریق سازمان‌های مربوط به بیماران به راش رسیده است. دیوید وست گفت: «برخی از [حکایت‌هایی] که ارسال میشود این است که مطالعه‌ام بهتر شده است، یا توانسته‌ام دستورات را دنبال کنم.» راش برای شنیدن این تجربیات باز مانده است، اما طراحی GENERATION-HD1 ارزیابی‌های بسیاری را برای ثبت چنین نتایجی و سایر موارد مهم برای کسانی که تحت تأثیر هانتینگتون هستند، در خود جای داده است. این ارزیابی‌های از پیش برنامه‌ریزی شده برای درک تأثیر تومینرسن بر بسیاری از جنبه‌های زندگی روزمره با هانتینگتون، بیشترین اهمیت را دارند. همانطور که لورن بواک توضیح داد، "روشی که در آن مطالعه ای مانند این باید انجام شود این است که [اطلاعات] باید به روشی سیستماتیک جمع آوری شوند." سنجیدن حکایات فردی با نتایج کلی تقریباً 800 شرکت کننده در GENERATION-HD1 دشوار است. به همین دلیل، مشاهده کامل مطالعه تا تکمیل بهترین راه برای به دست آوردن پاسخ و راهنمایی آزمایش‌های هانتینگتون آینده خواهد بود."

پرسش: فراتر از اتمام و پیگیری تجزیه و تحلیل مطالعه GENERATION-HD1، راش در فضای تحقیقاتی هانتینگتون و در حمایت از جامعه هانتینگتون چه می کند؟

پاسخ: تعهد راش به جامعه هانتینگتون، علاوه بر تکمیل مطالعات انجام شده در مورد تومینرسن، حول درک بهتر هانتینگتون پیش علامتی و هانتینگتون جوانان، و بهبود مشارکت تحقیقاتی و فرآیند نظارتی متمرکز است. به عنوان مثال، آنها از JOIN-HD پشتیبانی می کنند، یک رجیستری برای بیماران و مراقبان تحت تأثیر هانتینگتون جوانان (Juvenile HD)، که اخیراً توسط سازمان جوانان بیماری هانتینگتون راه اندازی شده است. آنها همچنین از پروژه حرکت رو به جلوی انجمن هانتینگتون اروپایی حمایت می کنند، که هدف آن مشارکت افراد بیشتری از خانواده های هانتینگتون در تحقیق و بهبود جذب افراد است. راش همچنین در کنسرسیوم تنظیم کننده بیماری هانتینگتون مشارکت دارد، با تمرکز بر گردآوری شرکای صنعتی و دانشگاهی برای سرعت بخشیدن به روند ارائه داروهای هانتینگتون به بازار و ترکیب ورود خانواده و درک جدید در مورد هانتینگتون. "این یک تلاش واقعاً مهم است... به منظور انجام آزمایش‌های بالینی در جمعیت‌های اولیه بیماران، نقاط پایانی جدید و توسعه نشانگرهای زیستی، چیزهایی که واقعاً برای پیشبرد این زمینه ها با هم مفید هستند، تا سعی کنیم این مسائل را پیرامون قدرت‌های نظارتی حل کنیم و این با همکاری موسسه مسیر بحرانی، FDA و CHDI است."



GENERATION-HD1 نشان داد که جامعه هانتینگتون چقدر انعطاف پذیر است - 85٪ از اعضای شجاع انجمن هانتینگتون که برای این آزمایش داوطلب شده اند و برای پیگیری ثبت نام کرده اند تا همه بتوانند تا حد امکان از این آزمایش بیاموزند.

در مورد مشارکت مستقیم در مسیرهای جدید تحقیقات هانتینگتون، راش اخیراً شراکتی را اعلام کرد (بین شرکت ژن درمانی آن، Spark Therapeutics، و یک شرکت کوچک بیوتکنولوژی به نام NeuExcell). یک مقاله قبلی Buzz این کار را پوشش می‌دهد، که بر تبدیل سلول‌های پشתיبان مغز به نورون‌هایی متمرکز است که می‌توانند به طور بالقوه جایگزین سلول‌های از دست رفته در هانتینگتون شوند. راش همچنین از بسیاری از تلاش‌های آموزشی و جمع آوری کمک‌های مالی از طریق سازمان‌های مربوط به بیماری در سراسر جهان پشتیبانی می‌کند.

## پیام اصلی

مثل همه افراد جامعه، ما در HDBuzz عمیقاً از فقدان مزایای مشاهده شده در آزمایش -GENERATION HD1 ناراحت هستیم. پس از صحبت با افراد در راس و دریافت حس مشارکت آنها و تعهد به آموختن هر چه بیشتر از این نتیجه ناگوار، احساس کمی بهتر می کنیم. برای به روزرسانی های بیشتر در مورد تومینرسن، و همچنین سایر آزمایش های هیجان انگیز در مسیر هانتینگتون، با HDBuzz همراه باشید.

---

نویسندگان هیچ تضاد منافی برای اعلام ندارند. 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

**هانتینگتون جوانان** بیماری هانتینگتون که علائم آن قبل از 20 سالگی شروع شود.

**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

**مایع مغزی نخاعی** مایع شفافی که توسط مغز تولید می شود و مغز و نخاع را احاطه کرده و از آنها محافظت می کند

**برچسب باز** کارآزمایی که در آن بیمار و پزشک می دانند از چه دارویی استفاده می شود.

کارآزمایی های برچسب باز از طریق اثرات دارونما مستعد سوگیری هستند.

**دارونما** دارونما یک داروی قلبی است که هیچ ماده فعالی ندارد. اثر دارونما یک اثر روان شناختی

است که باعث می شود افراد حتی اگر قرص هایی مصرف می کنند که موثر نباشد، احساس بهتری داشته باشند.

**درمانی درمان**

**نورون سلول** های مغزی که اطلاعات را ذخیره و انتقال می دهند

**فاز 3** مرحله توسعه یک درمان جدید که در آن کارآزمایی های بالینی با استفاده از بیماران زیادی

انجام می شود تا مشخص شود آیا درمان مؤثر است یا خیر

**تأثیر معیاری** برای اینکه آیا یک درمان مؤثر است یا خیر

---

© 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](http://hdbuzz.net) را ویزیت کنید

در تاریخ 8 ژانویه 2024 ایجاد شده است — از <https://fa.hdbuzz.net/312> دانلود شده است