



## تازه های کارآزمایی بالینی داروهای PIVOT-HD

هفته گذشته، شرکت داروسازی PTC بیانیه‌ای منتشر کرد که در آن اعلام کرد استخدام شرکت کنندگان آزمایش PIVOT-HD در بخش ایالات متحده متوقف شده است. در این مقاله، ما دقیقاً آنچه را که میدانیم و معنی این اعلامیه را بیان می‌کنیم.

29 ژوئن  
2023

توسط Dr Leora و Dr Rachel Harding  
Fox

ترجمه شده توسط Hamze  
Rahmani

ویراستاری شده توسط Dr Tamara  
Maiuri

در ابتدا در تاریخ 2 نوامبر 2022 منتشر شده  
است

استخدام شرکت کنندگان ساکن ایالات متحده برای آزمایش PIVOT-HD PTC Therapeutics متوقف شده است. از زمان اعلام این خبر، عناوین مختلف و گنج‌کننده زیادی در مورد توقف جذب نیرو منتشر شده است. در این مقاله، آنچه را که در جریان است، بیان خواهیم کرد.

### هدف از آزمایش PIVOT-HD چیست؟

آزمایش PIVOT-HD که توسط PTC Therapeutics اجرا می‌شود، با کاهش سطح پروتئین هانتینگتین، آزمایش می‌کند که چگونه داروی PTC518 ممکن است در بیماران هانتینگتون مفید باشد. داروی PTC518 را می‌توان به شکل قرص مصرف کرد و از انواع داروهایی است که با نام تعدیل کننده اتصال شناخته میشوند. این نوع دارو می‌تواند نحوه پردازش پیام‌های ژنتیکی را تغییر دهد و از این طریق بر سطح مولکول‌های پروتئینی-ای که آن پیام‌ها کدگذاری می‌کنند، تأثیر می‌گذارد.

در مورد PTC518؛ این دارو بر نحوه پردازش پیام ژنتیکی تولید شده از ژن هانتینگتون توسط بدن ما تأثیر می‌گذارد و در نتیجه سطح پروتئین هانتینگتین را کاهش می‌دهد. PTC518 بین اشکال گسترش نیافته یا گسترش یافته پیام ژنتیکی هانتینگتین تفاوتی قائل نمی‌شود، بنابراین هر دو شکل طبیعی و مضر پروتئین هانتینگتین کاهش می‌یابد. می‌توانید اطلاعات بیشتری درباره این دارو از مقاله‌ای که اوایل امسال درباره [نحوه عملکرد PTC518] نوشتیم (<https://en.hdbuzz.net/317>) بیابید. PIVOT-HD یک مطالعه فاز 2 است که علاوه بر کنترل دارونما، دو دوز مختلف از PTC518 را آزمایش می‌کند، با گزینه‌ای برای دوز سوم (بسته به نتایج). این مطالعه در مجموع به مدت 12 ماه انجام خواهد شد: یک دوره 3 ماهه برای یافتن دوز در آغاز و پس از آن یک دوره 9 ماهه که در آن آزمایش خون، مایع نخاعی و سایر اندازه‌گیری‌ها از شرکت کنندگان انجام می‌شود، تا ببینیم چگونه آنها به دارو پاسخ می‌دهند.

### اطلاعات به روز چه می‌گویند؟

در 18 اکتبر، PTC اطلاعیه‌ای منتشر کرد که تأیید می‌کند که ثبت نام برای کارآزمایی فعال و در حال انجام است. این اطلاعیه همچنین تأیید کرد که این مطالعه از سوی آژانس‌های اروپایی و استرالیایی تأیید شده است تا طبق برنامه پیش برود.

با این حال، اگرچه ثبت نام برای کارآزمایی قبلاً در ایالات متحده آغاز شده بود، اکنون این کار متوقف شده است. PTC در بیانیه خود تکرار کرد که این به دلیل عوارض جانبی بدی که با دارو مشاهده می شود، نیست. دلیل این مکث این است که آژانس اصلی تنظیم دارو در ایالات متحده، یعنی FDA، از PTC درخواست کرده است که داده‌های اضافی را ارائه دهد تا مطالعه طبق برنامه ریزی در ایالات متحده ادامه یابد.

## جزئیات بیشتر در مورد توقف استخدام شرکت کنندگان در ایالات متحده

در یک [وینار] در 2 نوامبر ([https://www.youtube.com/watch?v=ET2n6NVqR7g&ab\\_channel=Huntington%27sDiseaseSocietyofAmerica](https://www.youtube.com/watch?v=ET2n6NVqR7g&ab_channel=Huntington%27sDiseaseSocietyofAmerica))

انجمن بیماری هانتینگتون آمریکا برگزار شد، مدیر اجرایی عملیات PTC، دکتر متیو کلین دلایل دریافت چراغ زرد از FDA را به دقت شرح داد. ابتدا او توضیح داد که مدت زمانی که یک دارو می تواند روی افراد آزمایش شود معمولاً باید با آنچه روی حیوانات آزمایش شده است مطابقت داشته باشد. به طور معمول، اگر شرکتی بخواهد یک دارو را به مدت 9 ماه یا بیشتر روی انسان آزمایش کند، باید آن دارو را حداقل به مدت 9 ماه روی حیوانات آزمایش کرده باشد، همچنین در دوزهایی که با مطالعه انسانی مطابقت دارد.

وقتی PTC آزمایش PIVOT-HD را راه اندازی کرد، 3 ماه داده‌های امیدوارکننده در حیوانات داشتند که به آنها اجازه می داد یک مطالعه 3 ماهه را روی انسان‌ها آغاز کنند. در عین حال، آنها می دانستند که نتایج مطالعه 9 ماهه خود را روی حیوانات دریافت خواهند کرد، بنابراین می توانند برای تمدید مطالعه تا 1 سال در افراد درخواست دهند. هنگامی که آنها به نتایج آن مطالعات حیوانی طولانی تر دست یافتند، داده‌های مربوط به ایمنی و دوز، دلگرم کننده باقی ماندند؛ بنابراین آنها از آژانس‌های نظارتی مانند FDA در ایالات متحده و EMA در اروپا برای طولانی تر کردن مطالعه در انسان درخواست کردند. در حالی که آژانس‌های چند کشور (به عنوان مثال استرالیا، بریتانیا، آلمان، هلند) مطالعه طولانی تر را تایید کردند، FDA در ایالات متحده گفت که آنها مایلند قبل از تمدید مطالعه در افراد، داده‌های بیشتری را در مورد حیوانات ببینند. اینکه دقیقاً چه داده‌هایی درخواست شده اند، هنوز در اختیار عموم قرار نگرفته است. در حال حاضر، PTC در حال کار با FDA برای پیشبرد امور در ایالات متحده است، در عین حال تلاش‌های خود را بر ثبت نام مطالعه در مکان‌های فعال در سایر کشورها متمرکز کرده است.

## این برای کارآزمایی بالینی PIVOT-HD به چه معناست؟

در مطالعات خارج از ایالات متحده، همه چیز همانطور که برای PIVOT-HD برنامه ریزی شده ادامه خواهد داشت. تا آنجا که ما می دانیم، هنگامی که PTC معیارهای جدید تعیین شده توسط FDA را برآورده کند، این مطالعه نیز طبق برنامه ریزی در ایالات متحده ادامه خواهد یافت.

ممکن است دیده باشید که برخی از وبلاگ ها و سایت های خبری داروسازی نظرات متفاوتی در مورد اینکه این موضوع برای آینده‌ی PTC518 به عنوان درمانی برای هانتینگتون، به چه معناست، نوشته‌اند. متأسفانه، برخی از این مقالات براساس حدس و گمان‌اند و مبتنی بر واقعیت نیستند.

مهم است که به یاد داشته باشید که وظیفه FDA این است که اطمینان حاصل کند که آزمایش‌های بالینی ایمن، اخلاقی و علمی هستند. غیرمعمول نیست که اطلاعات اضافی توسط FDA قبل از ادامه کارآزمایی درخواست شود، وظیفه آنها این است که منافع شرکت کنندگان در کارآزمایی را در نظر بگیرند.

# چه زمانی بیشتر بدانیم؟

به روز رسانی برنامه ریزی شده بعدی از داروی PTC در مورد این آزمایش، در نیمه اول سال 2023 خواهد بود سال، زمانی که ما آنچه را که آنها در بخش 12 هفته-ای اول آزمایش یافته-اند، خواهیم شنید. ما همچنین پیش‌بینی می‌کنیم که پس از شروع مجدد ثبت نام در ایالات متحده، جامعه از به روز رسانی درباره داروی PTC مطلع شود.

هر زمان که به روز رسانی انجام شد، HDBuzz دوباره می-نویسد تا جامعه HD را در جریان قرار دهد.

---

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

**کارآزمایی بالینی** آزمایش‌هایی با برنامه‌ریزی بسیار دقیق برای پاسخ به سؤالاتی خاص که در مورد چگونگی تأثیر دارو بر انسان طراحی شده‌اند

**دارونما** دارونما یک داروی قلبی است که هیچ ماده فعالی ندارد. اثر دارونما یک اثر روان‌شناختی است که باعث می‌شود افراد حتی اگر قرص‌هایی مصرف می‌کنند که موثر نباشد، احساس بهتری داشته باشند.

**درمانی** درمان

**اتصال** برش دادن پیام‌های RNA، برای حذف مناطق غیر کدکننده و اتصال به مناطق کدکننده.

---

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

HDBuzz منبع توصیه‌های پزشکی نیست. برای اطلاعات بیشتر [hdbuzz.net](https://hdbuzz.net) را ویزیت کنید در تاریخ 8 ژانویه 2024 ایجاد شده است — از <https://fa.hdbuzz.net/336> دانلود شده است