

یونیکور مجوز ادامه آزمایش ژن درمانی برای هانتینگتون را دریافت کرد

پس از وقفه 3 ماهه در ثبتنام به دلیل نگرانی در مورد عوارض جانبی، یونیکور این خبر خوب را به اشتراک گذاشت که کارآزمایی AMT-130 برای ژن درمانی هانتینگتون طبق برنامه ریزی انجام شده و با اقدامات ایمنی جدید ادامه خواهد یافت.

ویراستاری شده توسط Dr Rachel Harding
در ابتدا در تاریخ 3 نوامبر 2022 منتشر شده است

29 ژوئن
توسط Dr Leora Fox 2023
ترجمه شده توسط Hamze Rahmani

در آگوست 2022، یونیکور (uniQure) وقفه در استخدام جدید را برای آزمایش AMT-130 (یک ژن درمانی برای هانتینگتون که از طریق جراحی مغز ارائه می‌شود)، اعلام کرد. این تصمیم پس از آن گرفته شد که 3 نفر از 14 شرکت کننده که دوز بالایی از دارو را دریافت کرده بودند عوارض جدی‌ای را پس از انجام این روش تجربه کردند (<https://en.hdbuzz.net/329>). هیئت نظارت بر ایمنی داده‌های کارآزمایی (DSMB)، که یک گروه مستقل از کارشناسان هستند که ایمنی دارو را در طول کارآزمایی ردیابی می‌کنند، از ماه آگوست به طور دقیق داده‌های ایمنی را بررسی کرده‌اند. آنها اخیراً مشخص کردند که جراحی‌های جدید با دوز بالا می‌تواند ادامه یابد، البته با برخی نظارت‌های اضافی برای شرکت‌کنندگان. بیابید در مورد این خبر و تاثیر آن بر آینده AMT-130 صحبت کنیم.

AMT-130 چیست؟

AMT-130 اولین ژن درمانی‌ای است که برای بیماری هانتینگتون طراحی شده است. ژن درمانی از مواد ژنتیکی ساخته دست بشر برای کاهش آسیب‌های ناشی از یک ژن معیوب یا گم شده استفاده می‌کند. AMT-130 یک درمان "تک شات" است، به این معنی که فقط یک بار باید تجویز شود و اثرات آن دائمی است.



این خبر امیدوارکننده از یونیکور (uniQure) نشان می‌دهد که یک مانع در تحقیقات بالینی، همیشه پایان راه برای آن دارو یا درمان نیست.

AMT-130 دستورالعمل‌های مسدود کننده پیام ژنتیکی هانتینگتین است که در داخل یک ویروس بی-خطر بسته بندی شده است. این ویروس از طریق جراحی با استفاده از سوزن های فوق نازک به قسمت های مختلف مغز منتقل می شود تا دارو در سراسر مغز پخش شود.

نتیجه این است که بسیاری از سلول های مغزی پروتئین هانتینگتین کمتری تولید می کنند و هدف آن کاهش پیشرفت بیماری هانتینگتون است. AMT-130 می تواند با موفقیت هانتینگتین را در حیوانات پایین بیاورد (<https://en.hdbuzz.net/302>) و آزمایشی انسانی آن در حال انجام است.

خلاصه ای از آنچه در مورد این کارآزمایی می دانیم

از اواسط سال 2020، یونیکور (uniQure) یک آزمایش ایمنی، معروف به مطالعه فاز یک-دو از AMT-130 را انجام داده است. یک آزمایش بسیار کوچک، که شامل 26 نفر در ایالات متحده آمریکا و 15 نفر دیگر در اروپا می-شود.

بخش آزمایشی ایالات متحده شامل دارونما است، به این معنی که 10 نفر از کسانی که تحت عمل جراحی قرار می گیرند، یک روش "کاذب" دریافت می-کنند، به عبارتی AMT-130 واقعی را دریافت نمی-کنند. از 16 نفری که AMT-130 دریافت می کنند، 6 نفر دوز کم و 10 نفر دوز بالا دریافت می کنند. در بخش اروپایی کارآزمایی، دارونما وجود ندارد و 6 نفر دوز پایین و 9 نفر دوز بالای AMT-130 را دریافت خواهند کرد.

در ژوئن 2022، یونیکور (uniQure) به روزرسانی مثبتی را درباره اولین سال جمع آوری داده-ی گروه دوز پایین بخش آزمایشی ایالات متحده به اشتراک گذاشت (<https://en.hdbuzz.net/327>). دوز پایین AMT-130 با عوارض جانبی محدود بی خطر به نظر می رسد و نشانه-های اولیه کاهش هانتینگتین در تعداد کمی از شرکت-کنندگانی که اطلاعاتشان در دسترس بود، وجود داشت.

سپس در ماه اوت (دو ماه بعد) خبرهای سختی دریافت شد (<https://en.hdbuzz.net/329>): در گروه دوز بالا، 3 نفر پس از عمل جراحی دچار مشکلات عصبی جدی شدند. به توصیه هیئت نظارت بر ایمنی داده ها، یونیکور uniQure جراحی های جدید با دوز بالا را متوقف کرد. در آن زمان، 24 نفر از 26 شرکت کننده بخش آزمایشی ایالات متحده و 10 نفر از 15 نفر در اروپا، تحت عمل جراحی قرار گرفته بودند. آنها اعلام کردند که تصمیم در مورد مراحل بعدی در اواخر پاییز گرفته می-شود تا هیئت نظارت (DSMB) فرصتی برای بررسی دقیق داده ها داشته باشد.

آنچه از بروزرسانی اخیر آموختیم

از ماه اوت، DSMB بررسی دقیق تری از داده ها را انجام داده است. در 2 نوامبر، uniQure یک نسخه مطبوعاتی (<https://uniqure.gcs-web.com/node/10901/pdf>) و همچنین بیانیه ای خطاب به خانواده های بیماران هانتینگتونی به اشتراک گذاشت (<https://hdsa.org/wp-content/uploads/2022/11/2022-11-02-Ltr-to-HD-Comm-Final.pdf>). اول، آنها بیان کردند که عوارض جانبی جدی اکنون در آن سه شرکت کننده-ی با دوز بالا از بین رفته است. دوم، آنها به جامعه اطلاع دادند که ادامه جراحی با دوز بالا طبق برنامه ریزی انجام می-شود. 2 شرکت کننده آمریکایی که باقی مانده بودند وارد آزمایش شدند و uniQure امیدوار است که آن 5 شرکت کننده اروپایی را تا نیمه اول سال 2023 ثبت نام کند.

در نهایت، uniQure آنچه را که DSMB برای جراحی های باقی مانده توصیه می کند به اشتراک گذاشت: پس از عمل، شرکت کنندگان به مدت 2 هفته با دقت بیشتری تحت نظر خواهند بود، از جمله ویزیت حضوری در روز هفتم پس از عمل. این به پزشکان مطالعه کمک می کند تا تصمیم بگیرند که آیا داروهایی را برای کمک به

کنترل هرگونه واکنش ایمنی در هفته های پس از جراحی تجویز کنند یا خیر. این احتمالاً همان چیزی است که باعث عوارض جانبی جدی مانند تورم، گیجی و سردرد شده است.

حرکت رو به جلو و منتظر اخبار بیشتر

پیام کلی برای جامعه هانتینگتون این است که مطالعه یونیکور در مورد AMT-130 طبق برنامه پیش خواهد رفت. این بدان معنی است که یونیکور هنوز در مسیر اعلام آخرین داده‌های مطالعه ایالات متحده در سه ماهه دوم سال 2023 است. با داده های بیشتر، احتمالاً درک بهتری به دست آوریم از اینکه آیا AMT-130 می‌تواند به طور ایمن در یک کارآزمایی بالینی بزرگتر آزمایش شود یا خیر. کارآزمایی‌ای که اثربخشی آن را در کاهش علائم هانتینگتون آزمایش کند.

این رویه‌ی وقفه در مطالعه و از سرگیری آن، اهمیت پایش داده‌های مستقل را نشان می‌دهد که در هر کارآزمایی بالینی گنجانده میشود. در این مورد، مکث به DSMB اجازه داد تا بیشتر بررسی کند و تغییراتی را توصیه کند که شرکت کنندگان را ایمن تر نگه دارد. این برای همه ما که از تحقیقات پزشکی سود می‌بریم، بسیار مهم است، به ویژه افراد شجاعی که اولین بار یک درمان تجربی بی-سابقه را دریافت میکنند.

بیشتر از همه، این خبر امیدی تازه به ارمغان می‌آورد و نشان می‌دهد که یک مانع در تحقیقات بالینی همیشه پایان راه نیست!

دکتر لورا فاکس در انجمن بیماری هانتینگتون آمریکا کار میکند که با شرکت های داروسازی از جمله یونیکور دارای روابط و قراردادهای عدم افشای اطلاعات است. دکتر ریچل هاردینگ هیچ تعارضی برای اعلام ندارد. 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

تأثیر معیاری برای اینکه آیا یک درمان موثر است یا خیر

© HDBuzz 2011-2024. اشتراک‌گذاری 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 8 ژانویه 2024 ایجاد شده است — از <https://fa.hdbuzz.net/337> دانلود شده است