

داروی درمان کننده علائم حرکتی هانتینگتون توسط FDA تأیید شد

FDA والبنازین را که با نام INGREZZA نیز شناخته می شود را به عنوان درمانی برای علائم حرکتی بیماری هانتینگتون تأیید کرده است.

توسط Dr Rachel و Dr Leora Fox



6 سپتامبر
2023

Harding

ترجمه شده توسط Hamze
Rahmani

ویراستاری شده توسط Dr Rachel
Harding

در ابتدا در تاریخ 22 اوت 2023 منتشر شده است

اکثریت قریب به اتفاق افراد مبتلا به بیماری هانتینگتون علائم حرکتی معروف به کوره آ را تجربه می کنند. والبنازین که با نام اینگرزا (INGREZZA) نیز شناخته می شود، اخیراً توسط سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) تأیید شده است و به پزشکان در ایالات متحده اجازه می دهد این دارو را برای بیماری هانتینگتون (HD) تجویز کنند. در این مقاله به نکات کلیدی این اطلاعیه و معنای آن برای اعضای خانواده هانتینگتون می پردازیم.

پیشینه والبنازین

INGREZZA نام تجاری والبنازین است، دارویی که توسط شرکت نوروکراین بیوساینس (Neurocrine Biosciences) ساخته شده است. این دارو مانند تترابنازین و دوترابنازین (Austedo) عمل می کند، داروهایی که معمولاً برای کمک به کنترل حرکات انقباض یا تکان های غیرارادی تجویز می شوند که افراد مبتلا به هانتینگتون تجربه می کنند. درمان با این داروها پروتئینی به نام VMAT2 را که مسئول بسته بندی انواع خاصی از مواد شیمیایی است که سلول های مغز برای برقراری ارتباط از آنها استفاده می کنند، مسدود می کند. VMAT2 به قرار دادن پیام رسان شیمیایی دوپامین (از بین دیگر پیام رسان ها) در حباب هایی که از سلولی به سلول دیگر عبور می کنند، کمک می کند. دوپامین در مدارهای حرکتی مغز ما نقش دارد و تصور می شود که مسدود کردن VMAT2 می تواند کراس-تاک [تأثیر دوپامین بر سایر گیرنده های غیر اختصاصی] را کم کند. اینکه چرا این کار حرکات نامنظم و غیرارادی را بهبود می بخشد، مشخص نیست، اما این داروها برای بسیاری از افراد مبتلا به هانتینگتون کوره آ مؤثر هستند. والبنازین از سال 2017 در ایالات متحده آمریکا برای درمان دیسکینزی دیررس (TD)، حرکات غیرارادی که ناشی از استفاده از داروهایی به نام داروهای اعصاب یا ضد روان پریشی است، تأیید شده است. داروهای ضد روان پریشی توسط بسیاری از مردم در سراسر جهان برای درمان علائم روانپزشکی و رفتاری اختلال دوقطبی، اسکیزوفرنی و سایر بیماری ها، از جمله هانتینگتون مصرف می شود. پس از استفاده طولانی مدت از این داروها، برخی افراد دچار TD می شوند که اغلب شامل پرش در عضلات دهان و صورت می شود. والبنازین (INGREZZA) می تواند برای کنترل این حرکات غیرارادی مفید باشد، بنابراین نوروکراین بیوساینس شروع به مطالعه کرد که آیا می تواند برای بیماری های کوره آ ناشی از بیماری هانتینگتون نیز مؤثر باشد.

آزمایش و تایید والبنازین برای افراد مبتلا به هانتینگتون

از آنجایی که والبنازین در افراد مبتلا به TD آزمایش شده بود و برای چندین سال تجویز شده بود، از قبل می دانستیم که این دارو در انسان بی خطر است. با این حال، هنوز یک کارآزمایی بالینی برای درک اینکه آیا می تواند به طور موثر بیماری هانتینگتون کوره‌آ را درمان کند، مورد نیاز بود. با همکاری گروه مطالعه هانتینگتون، نوروکراین بیوساینس یک کارآزمایی بالینی فاز 3 به نام KINECT-HD را که از سال 2020 آغاز شده بود، اجرا کرد. 128 نفر شرکت کردند. به نیمی از آنها به مدت 12 هفته یکبار در روز کپسول والبنازین داده شد و نیمی دیگر دارونما (قرصی بدون دارو) مصرف کردند. از شرکت کنندگان دعوت شد تا در یک کارآزمایی طولانی تر و در حال انجام به نام KINECT-HD2 که در آن همه والبنازین دریافت می کنند، ادامه دهند. KINECT-HD موفقیت‌آمیز بود، به نقطه پایانی اولیه خود رسید، به این معنی که والبنازین در مقایسه با دارونما، شدت هانتینگتون کوره‌آ را کاهش داد. این امتیاز نمره کل حداکثر کوره‌آ (TMC) را بهبود بخشید، یک معیار متریک که پزشکان از آن برای نظارت بر علائم کوره‌آ استفاده می کنند. این نتیجه "بالا" در سال 2021 عمومی شد و از آن زمان به بعد نوروکراین به مطالعات خود ادامه داد؛ تجزیه و تحلیل، ارائه و آماده سازی داده ها از دو کارآزمایی هانتینگتون والبنازین را نیز انجام داد. آنها والبنازین را در دسامبر سال 2022 به FDA ارائه کردند و در 18 اگوست 2023، نوروکراین اعلام کرد که INGREZZA مورد تایید FDA قرار گرفته است، به این معنی که اکنون می توان آن را به طور رسمی برای افراد در ایالات متحده آمریکا برای درمان هانتینگتون کوره‌آ تجویز کرد. ممکن است مدتی طول بکشد تا داروها از تایید به عرضه به نسخه معمول تبدیل شوند، به خصوص برای یک بیماری نادر. هنگامی که آنها چراغ سبز دریافت کردند، شرکت ها می توانند انرژی بیشتری را به آموزش متخصصان پزشکی و جامعه در مورد درمان جدید اختصاص دهند. تا پایان سپتامبر، احتمالاً آگاهی در میان پزشکان ایالات متحده افزایش یافته است، اما در حال حاضر منابعی برای اعضای خانواده برای یادگیری بیشتر وجود دارد.



سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) مسئول تایید داروهایی است که در انسان بی خطر و در درمان بیماری های مختلف موثر هستند.

دیگر در مورد والبنازین چه می دانیم؟

توجه به این نکته مهم است که INGREZZA پیشرفت هانتینگتون را کند یا متوقف نمی کند. با این حال، مصرف دارو برای بهبود حرکات غیرارادی و سایر علائم هانتینگتون می تواند تأثیر زیادی بر کیفیت زندگی داشته باشد. برای برخی از افراد مبتلا به هانتینگتون و عزیزانشان، کوره‌آ آزاردهنده نیست، اما برای برخی دیگر، می تواند در فعالیت های روزمره و حتی ایمنی شخص اختلال ایجاد کند و درمان می تواند تفاوت بزرگی ایجاد کند. INGREZZA به صورت یک کپسول مصرف می شود که یک بار در روز بلعیده می شود. این یک

ویژگی مثبت این دارو است، زیرا برای بسیاری از افراد مبتلا به هانتینگتون، یادآوری مصرف مجموعه‌ای از قرص‌ها در طول روز می‌تواند دشوار باشد. عموزاده‌های شیمیایی مشابه والبنازین ممکن است راه‌هایی برای اصلاح دریافت برای افرادی که مشکلات بلع دارند یا از لوله تغذیه استفاده می‌کنند وجود داشته باشد. دوز را نیز می‌توان در طول زمان تغییر داد، بسته به اینکه فرد چقدر به دارو پاسخ می‌دهد و یا هر گونه عوارض جانبی که ممکن است تجربه کند. Neurocrine امیدوار است که این بدان معنی باشد که عوارض جانبی برای تعداد بیشتری از افرادی که این دارو را مصرف می‌کنند در مقایسه با سایر داروهای هدفمند VMAT2 قابل کنترل تر باشد.

متعادل کردن عوارض جانبی، هزینه‌ها و عوامل دیگر

مانند همه داروها، والبنازین دارای برخی از عوارض است. مهارکننده‌های VMAT2 عوارض جانبی رایجی مانند خواب‌آلودگی دارند. آنها همچنین می‌توانند عوارض جانبی بسیار جدی داشته باشند که شامل افسردگی و همچنین افکار خودکشی یا اقدام به خودکشی می‌شود. بنابراین، بسیار مهم است که افراد مبتلا به هانتینگتون که INGREZZA را دریافت میکنند، تاریخچه پزشکی گذشته خود را به طور دقیق به ارائه دهنده مراقبت‌های بهداشتی خود منتقل کنند و در صورت مشاهده هر گونه عوارض جانبی در اسرع وقت به آنها اطلاع دهند. علاوه بر مهارکننده‌های VMAT2، داروهای مختلفی وجود دارد که پزشکان برای درمان کوره‌آ در کنار سایر علائم تجویز می‌کنند. به عنوان مثال، برخی از داروهای ضد روان‌پریشی که برای سلامت روان و رفتار در هانتینگتون استفاده می‌شوند نیز می‌توانند اثر آرام بخشی داشته باشند. همچنین ملاحظاتی در مورد هزینه وجود دارد، به ویژه در کشورهایی مانند ایالات متحده، که پوشش بیمه ممکن است به دلیل فقدان مراقبت‌های بهداشتی همگانی متفاوت باشد یا به طور کامل وجود نداشته باشد. شرکت‌هایی مانند نوروکراین با داروهای جدید در بازار قصد دارند این مشکل را از طریق کانال‌های مختلف از جمله برنامه‌های کمکی کاهش دهند. لازم به ذکر است که نسخه یک بار در روز از دوترابنازین (Austedo XR) توسط Teva در ایالات متحده آمریکا در ماه مه معرفی شد، که احتمالاً تصادفی نیست - شرکت‌هایی که داروهایی که همان اختلال را درمان می‌کنند اغلب استراتژی‌های تحقیقاتی خود را بر اساس دانش عمومی تنظیم می‌کنند. مانند تأییدیه قریب الوقوع FDA یک شرکت دیگر. دلایل تجویز یا مصرف یک دارو نسبت به دیگری از پزشک به پزشک و از بیمار به بیمار دیگر متفاوت است. واکنش همه افراد به داروها متفاوت است و پوشش و تأییدیه‌ها از مکانی به مکان دیگر بسیار متفاوت است.

گرفتن پیغام خانگی

در حالی که ما منتظر درمان‌هایی هستیم که می‌توانند پیشرفت بیماری را کاهش دهند، داروهایی مانند INGREZZA می‌توانند کیفیت زندگی را بهبود بخشند، و این یک افزودنی خوش‌آمد به زرادخانه ابزارهای ما برای مبارزه با هانتینگتون است. تایید والبنازین در ایالات متحده آمریکا خبر خوبی برای جامعه هانتینگتون است. این امر آگاهی عمومی را در مورد بیماری هانتینگتون افزایش می‌دهد و رقابت سالمی برای پایین نگه داشتن هزینه‌ها ایجاد می‌کند. مهمتر از همه، در دسترس بودن درمان‌های متعدد برای کوره‌آ، انتخاب اعضای خانواده هانتینگتون را در تصمیم‌گیری‌های مراقبت‌های بهداشتی افزایش می‌دهد. گفته می‌شود، در خارج از ایالات متحده، تنها شرکت‌کنندگان مطالعه در آزمایش‌های KINECT-HD می‌توانند به این دارو دسترسی داشته باشند، و نوروکراین هنوز تعهد آنها را به دنبال تأیید نظارتی در سایر کشورها تأیید نکرده است. آنها قصد دارند در آینده نزدیک از طریق یک وینار عمومی با اعضای خانواده هانتینگتون به طور مستقیم به جامعه هانتینگتون بپردازند. HDBuzz امیدوار است که همه شرکت‌هایی که درمان‌های هانتینگتون را توسعه می‌دهند، در جهت دسترسی جهانی به داروهایی که می‌تواند کیفیت زندگی افراد مبتلا به هانتینگتون را بهبود بخشند، تلاش کنند.

می‌کنند، از جمله نوروکراین بیوساینس، روابط و توافق‌نامه‌های عدم افشای اطلاعات دارد. این مقاله بر اساس اطلاعات عمومی نوشته شده است. ریچل هاردینگ هیچ تضاد منافی برای اعلام ندارد. برای اطلاعات بیشتر در مورد خط مشی افشای ما، به سوالات متداول ما مراجعه کنید...

واژه نامه

نقطه پایانی اولیه سوال اصلی که در یک کارآزمایی بالینی پرسیده می‌شود **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.

دوپامین یک ماده شیمیایی سیگنال دهنده (انتقال دهنده عصبی) که در کنترل حرکت، خلق و خو و انگیزه نقش دارد

گیرنده مولکولی روی سطح سلول که مواد شیمیایی سیگنال دهنده به آن متصل می‌شوند

کوره‌آ حرکات غیر ارادی و نامنظم «بی‌تابی» که در هانتینگتون رایج است

فاز 3 مرحله توسعه یک درمان جدید که در آن کارآزمایی‌های بالینی با استفاده از بیماران زیادی انجام می‌شود تا مشخص شود آیا درمان مؤثر است یا خیر

تأثیر معیاری برای اینکه آیا یک درمان مؤثر است یا خیر

© 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 را ویزیت کنید در تاریخ 8 مه 2024 ایجاد شده است — از <https://fa.hdbuzz.net/348> دانلود شده است