

حرکت در سریعترین مسیر: uniQure و FDA برای تأیید سریع در مسیری مشترک قدم برمیدارند

در بهروزرسانی‌ای که امروز به اشتراک گذاشته شد، uniQure همسویی با FDA را بر روی معیارهای کلیدی برای تأیید سریع داروی بیماری هانتینگتون اعلام کرد.

توسط Dr Sarah و Dr Rachel Harding



15 دسامبر
2024

Hernandez

ویراستاری شده توسط Dr Rachel و Dr Sarah Hernandez
Harding

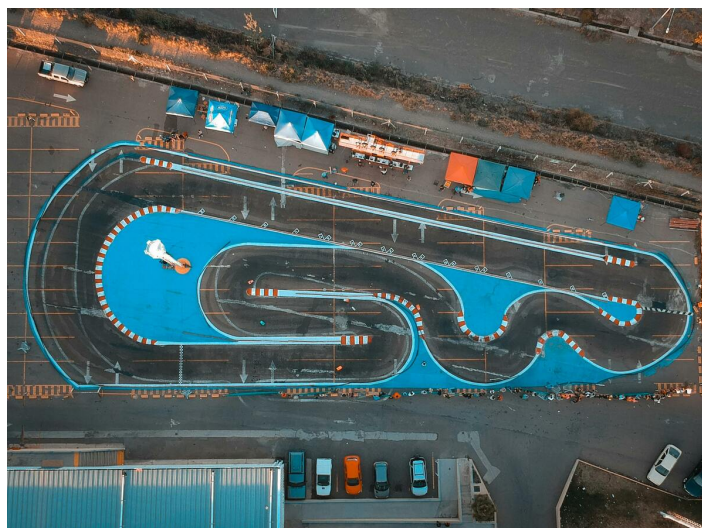
در ابتدا در تاریخ 10 دسامبر 2024 منتشر شده
است

ترجمه شده توسط Dr Ahmad
Fotoohi

در تاریخ 10 دسامبر 2024، ما یک بهروزرسانی نظارتی از شرکت uniQure درباره داروی AMT-130 دریافت کردیم که برای بیماری هانتینگتون (HD) در مراحل کلینیکی پیشرفت می‌کند. در این جلسه، uniQure اعلام کرد که در عناصر کلیدی برای گرفتن تاییدیه سریع‌تر با FDA به توافق رسیده است. مت کاپوستا، مدیرعامل uniQure، درباره این برنامه گفت که آن‌ها قصد دارند «AMT-130 را با حداکثر سرعت ممکن پیش ببرند». این خبر هیجان‌انگیز نه تنها برای uniQure بلکه برای همه آزمایش‌های مرتبط با HD امیدوارکننده است، زیرا مسیر دستیابی به درمان‌های تاییدشده و داروهای مؤثر برای مبتلایان به HD را روشن می‌کند.

AMT-130 چیست؟ AMT-130 اولین ژن‌درمانی برای بیماری هانتینگتون است که توسط شرکت داروسازی هلندی uniQure توسعه یافته است. مانند دیگر درمان‌های در حال آزمایش برای HD، این دارو برای کاهش سطح پروتئین هانتینگتین در مغز طراحی شده است.

AMT-130 به‌عنوان یک ژن‌درمانی «یک بار برای همیشه» عمل می‌کند، به این معنی که افراد فقط یک دوز از این دارو را در طول زندگی دریافت می‌کنند. این دارو از طریق جراحی مغز وارد سلول‌های مغزی می‌شود و ویروسی بی‌ضرر را با دستورالعمل‌های ژنتیکی خاص برای کاهش تولید پروتئین هانتینگتین به سلول‌ها می‌رساند.



uniQure و FDA نشان دادند که در یک مسیر هستند. اتخاذ معیارهای cUHDRS و NFL برای بیماری هانتینگتون یک پیشرفت نه تنها برای uniQure، بلکه برای تمام آزمایشات بالینی HD است.

اعتبار تصویر: Juan Cruz Palacio Mir

دو آزمایش کلینیکی در حال انجام دو آزمایش کلینیکی برای ارزیابی AMT-130 در حال انجام است: HD-1 GeneTRX در ایالات متحده و HD-GeneTRX-2 در اروپا. در مجموع، این آزمایشها 45 شرکت کننده را جذب کرده اند که به صورت تصادفی به گروه های دوز بالا، دوز پایین یا جراحی نمایشی (بدون دریافت دارو) تقسیم شده اند.

شرکت کنندگان طی سالها از نظر ایمنی دارو، علائم بیماری، و شاخص های زیستی مورد ارزیابی قرار می گیرند. هدف اصلی این آزمایشها تعیین ایمنی AMT-130 است، اما داده هایی درباره اثرات احتمالی دارو بر علائم HD نیز جمع آوری می شود.

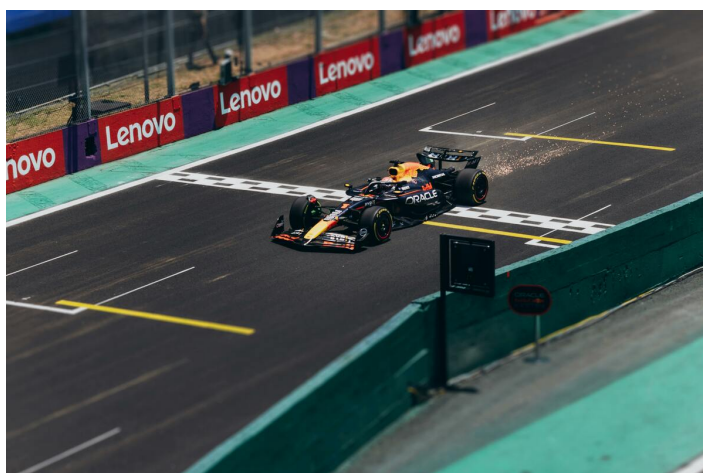
پیشروی با خوش بینی با اخبار مثبت تابستان، uniQure با FDA برای شناسایی مسیر تایید سریع تر AMT-130 ملاقات کرد. این فرآیند حدود 5 سال از زمان تایید نهایی دارو صرفه جویی می کند.

«در این برنامه، مت کاپوستا، مدیر عامل uniQure، گفت که آنها قصد دارند "AMT-130 را تا حد امکان سریع پیش ببرند»

سه نکته کلیدی از به روزرسانی امروز uniQure عبارتند از:

امکان درخواست تایید سریع بر اساس داده های فعلی آزمایش HD-GeneTRX. استفاده از معیار cUHDRS به عنوان یک شاخص میانجی. استفاده از سطح NFL در مایع نخاعی به عنوان مدرک اثبات اثربخشی دارو. در مسیر درست FDA توافق کرد که uniQure می تواند از یک مطالعه تاریخچه طبیعی به عنوان گروه کنترل استفاده کند، بنابراین آزمایش کلینیکی جدیدی نیاز نخواهد بود و مطالعات فعلی HD-GeneTRX ممکن است آخرین گام قبل از درخواست تایید باشند.

شاخص های عملکردی معیارهای کلیدی مورد بحث شامل پیشرفت بالینی با استفاده از cUHDRS و سلامت سلول های مغزی با بررسی سطح NFL بودند.



برای اولین بار، FDA توضیح داد که چه چیزی می تواند درمان بیماری هانتینگتون را در خط پایان انجام دهد - تغییرات مثبت در cUHDRS و بهبود سطوح NFL.

اعتبار تصویر: Jonathan Borba

پیشرفت بالینی: cUHDRS ابزاری حساس برای ارزیابی پیشرفت بیماری است که شامل آزمون‌هایی برای کنترل حرکت، توجه و حافظه است. این معیار توسط FDA به‌عنوان یک شاخص مهم بالینی پذیرفته شد.

سلامت سلول‌های مغزی: سطح NFL، به‌عنوان شاخص سلامت سلول‌های مغزی، برای اولین بار توسط FDA پذیرفته شد. کاهش سطح NFL نشانه بهبود سلامت سلول‌های مغزی است.

پیشرفت به سمت خط پایان uniQure برنامه‌ریزی کرده است تا اوایل 2025 با FDA و سازمان دارویی اروپا (EMA) ملاقات کند و داده‌های جدیدی از آزمایش‌های خود منتشر کند. هدف آن‌ها دریافت تایید سریع برای AMT-130 است و پیشرفت آن‌ها راه را برای دیگر شرکت‌های دارویی هموار می‌کند. سال 2025 قطعاً سال بزرگی خواهد بود!

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
درمانی درمان
NFL بیومارکر سلامت مغز

© HDBuzz 2011-2025. 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 25 مارس 2025 ایجاد شده است — از <https://fa.hdbuzz.net/399> دانلود شده است

برخی از متن‌های این صفحه هنوز ترجمه نشده است. در زیر به زبان اصلی نمایش داده شده است. ما در تلاش هستیم تا همه مطالب را در اسرع وقت ترجمه کنیم.