

D&R sull'ultimo comunicato di Ionis e Roche sul trattamento di diminuzione dell'huntingtina

I nostri amici a @hdsa hanno prodotto quest'ottimo documento D/R sui recenti annunci di riduzione dell'huntingtina.

Di Dr Leora Fox 05 settembre 2018 A cura di Dr Jeff Carroll

Tradotto da Dr Ettore A. Accolla Articolo pubblicato per la prima volta 26 aprile 2018

All'inizio di questa settimana, Ionis Pharmaceuticals ha pubblicato un comunicato stampa dopo aver presentato in un congresso scientifico i dati più recenti del trial di HTTRx (RG6042), un farmaco che mira a diminuire la produzione della proteina huntingtina. Il partner commerciale di Ionis, Roche, ha ugualmente rilasciato un comunicato pubblico. La nostra amica alla società americana della malattia di Huntington (SAMH), Drssa Leora Fox, ha preparato questo articolo rispondendo alle domande ricevute dal pubblico dopo il comunicato stampa. Ci è piaciuto così tanto, che abbiamo deciso di riprodurlo qui, per gentile concessione, a beneficio dei lettori di HDBuzz.

Che cosa dice il comunicato?

Essenzialmente, ha ribadito quello che già sappiamo: il farmaco è sicuro, e ha diminuito i livelli della huntingtina, la proteina che danneggia le cellule cerebrali nella MH. L'informazione aggiuntiva, presentata il 24 Aprile, è che globalmente i partecipanti con i livelli più bassi di huntingtina hanno anche mostrato dei risultati migliori negli esami clinici che misurano i sintomi della MH. Tuttavia, lo studio è stato progettato per dare risposte sulla sicurezza, non sull'efficacia, quindi sarà necessario condurre uno studio più ampio.

Quindi dicono che il farmaco funziona?

Non è possibile trarre questa conclusione allo stato attuale. Tutto ciò che sappiamo è che il farmaco è sicuro e che è riuscito ad entrare in contatto con il target genetico che doveva colpire, come progettato. I dati clinici comunicati da Ionis sono di tipo unicamente esplorativo - lo studio ha incluso soltanto 46 partecipanti in totale, un numero non sufficiente per giudicare della sua efficacia sulla riduzione dei sintomi. Anche se le conclusioni sono molto promettenti, l'analisi statistica non ha ancora mostrato un beneficio clinico.

Che succede adesso? Questi risultati modificheranno la tabella di marcia dello studio?

No. Ionis passa il testimone a Roche Pharma, un'industria farmaceutica più grande che ha investito nella comunità MH. Negli Stati Uniti, l'azienda si chiama Genentech. Una squadra internazionale di esperti è stata costituita, ed avrà il compito di pianificare e coordinare uno studio clinico di Fase 3 a livello mondiale. Qui potete leggere il loro più recente comunicato alla comunità. Intanto, siamo incoraggiati dal fatto che l'analisi dello studio di Fase 1 e 2 continua a mostrare risultati promettenti. Siamo anche entusiasti del fatto che la presentazione di questi risultati abbia ottenuto particolare rilevanza in diversi congressi di ricerca internazionali. Questo avrà un effetto positivo sulle famiglie affette, diffondendo la conoscenza della MH fra le professioni mediche del mondo intero.

Se è così promettente, dov'è l'intoppo?

Per essere certi che i farmaci siano sicuri ed efficaci occorre completare un percorso molto lungo e strettamente regolato. Roche-Genentech deve ancora lavorare tanto: bisogna progettare lo studio con cura, identificare gli specialisti e le strutture che parteciperanno, sincerarsi che le squadre siano equipaggiate e formate per somministrare il farmaco, produrre il farmaco stesso, occuparsi del finanziamento rispettando le esigenze di diversi organismi regolatori in tutto il mondo. Tutti questi passaggi necessitano pianificazione, adempimenti burocratici, e pazienza. Siate certi tuttavia che ci sono persone intelligenti e compassionevoli - compresi pazienti affetti dalla MH e le loro famiglie - che lavorano per rendere questo farmaco disponibile in clinica il più velocemente possibile.

Posso iscrivermi nello studio clinico, o mettere il mio nome in lista?

Sfortunatamente, no. Il reclutamento dei pazienti negli studi clinici passa normalmente dalla relazione medico-paziente, per cui il medico verifica se un paziente ha i requisiti per essere incluso, e in seguito lo indirizza al centro che partecipa allo studio. Questa è una delle ragioni per cui la Società Americana per la malattia di Huntington (SAMH) incoraggia i pazienti a contattare un esperto di MH in un Centro di Eccellenza o un'altra clinica MH con un interesse nella ricerca, e di partecipare a [Enroll-HD](#).

Moltissimi sono pronti a fare il grande passo, e a partecipare. Lo studio non è ancora in questa fase, e la SAMH non ha il controllo su ogni aspetto della progettazione, partecipazione, criteri di inclusione. Ci saranno certamente molti meno "posti" che pazienti volontari, e questo necessariamente causerà qualche delusione. Non incoraggiamo le persone a considerare dei cambiamenti di vita (per esempio traslocare) sulla base del loro

desiderio di partecipare allo studio. Siamo certamente felici che la comunità MH mostri un tale coinvolgimento nella ricerca e continueremo a comunicarvi e aiutarvi a interpretare ogni nuova informazione di cui avremo notizia.

Ci potrebbero essere altri progetti di ricerca vicino a dove risiedete: visitate il sito [HDTrialfinder](#) per più informazioni.

Cosa sta facendo la società americana per la malattia di Huntington (SAMH) per sostenere il trial e la comunità MH?

La SAMH sta lavorando in stretto contatto con membri del team Roche-Genentech per assicurarsi che ogni nuova informazione riguardo allo studio venga comunicata in maniera tempestiva e corretta. La SAMH è anche un membro fondatore della Huntington's Disease Coalition for Patient Engagement (HD-COPE - Coalizione per il coinvolgimento del paziente affetto da MH), che facilita il contatto fra l'industria (farmaceutica) e i pazienti e le loro famiglie. HD-COPE aiuterà aziende come Roche a sincerarsi che la pianificazione degli studi, il tipo di dati misurati, e i criteri di inclusione appaiano ragionevoli ai veri esperti - i pazienti affetti da MH e i loro cari.

Infine, continuiamo a fornire dettagli sugli studi e informazioni di contatto, per facilitare la partecipazione a progetti di ricerca in corso di reclutamento su HD Trialfinder. Visto che il trial Roche-Genentech non è ancora iniziato, non lo troverete ancora nell'elenco.

Quando pensate che questo farmaco sarà disponibile?

A questa domanda è estremamente difficile rispondere. Gli studi clinici possono durare vari anni, e per questo studio in particolare bisogna essere molto accurati e cauti, proprio perchè è così importante e diverso dagli studi ristretti ai sintomi della MH. Ci piacerebbe poter dire che c'è una scalette temporale precisa, ma questo è territorio inesplorato, e semplicemente non sappiamo. Il primo passo è quello di vedere se il farmaco può migliorare i sintomi o rallentare la MH, e questo sarà l'obbiettivo dello studio di fase 3.

Che cosa posso fare allo stato attuale?

Assicuratevi di essere in cura da un medico o in un centro con un'esperienza specifica con la MH, e particolarmente con un interesse di ricerca (come, negli Stati Uniti, in un Centro di Eccellenza o in una clinica universitaria che si occupi di MH). Consultate il sito di HD Trialfinder per conoscere gli studi in corso. E, innanzi tutto, prendete cura di voi stessi e delle persone intorno a voi.

Nella lotta contro la MH, la famiglia è tutto.

Gli autori non hanno conflitti di interesse da dichiarare Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...

GLOSSARIO

studio clinico Esperimenti accuratamente progettati per rispondere a quesiti specifici sugli effetti di un farmaco sull'uomo.

efficacia Una misura indicante se un farmaco funziona o no

© HDBuzz 2011-2021. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Ulteriori informazioni disponibili a hdbuzz.net

Creato al 03 ottobre 2021 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/258>

Alcune parti di testo in questa pagina non sono ancora state tradotte. Sono mostrate in lingua originale. Stiamo lavorando per tradurre tutti i contenuti prima possibile.