

Viktig behandlingsstudie i regi av RocheGenentech mot Huntingtons sjukdom stoppad.

Måndagen 22 mars meddelade RocheGenentech att studiens IDMC beslutat att stoppa vidare injektioner av Tominersen i GENERATION HD1-studien, eftersom "den potentiella nyttan inte uppvägs av de potentiella riskerna med studierna". Närmare detaljer är i dagsläget inte kända.

På fredagen 26 mars organiserade den europeiska patientorganisationen EHA (European Huntington Association) ett webinar över dessa nyheter. Ordförande var Astri Arnesen som ledde diskussionen på ett strålande sätt. En rad framträdande forskare deltog, inklusive Bernhard Landwehrmayer, Sarah Tabrizi och Anne Rosser. Alla var besvikna över att studien stoppades, men det framgick också att analysen av alla de data som hittills insamlats kommer att analyseras och man fortsätter undersöka de deltagande Huntingtonpatienterna. I slutet av 2021 kan vi hoppas att data är analyserade och att vi kommer att få veta varför studien stoppades. Dessa resultat kan ge viktig information för framtida studier med "gene silencing".

GENERATION HD 1 är inte det första försöket hitta en effektiv bromsbehandling mot Huntingtons sjukdom. Vi bör fortsätta vara optimistiska. Det behövs fler vetenskapliga studier, men vetenskapliga studier resulterar ofta i oväntade resultat vilket tycks vara fallet med GENERATION HD 1

Det finns idag ingen behandling som effektivt botar eller bromsar utvecklingen av Huntingtons sjukdom. Stora förhoppningar är knutna till möjligheten att "stänga av" den muterade Huntingtongenen, och en rad olika metoder har utvecklats som fungerar i olika experiment som utförs i laboratoriet på cellkulturer eller i försöksdjur. Dessa metoder kallas gemensamt för "gene silencing".

Företaget IONIS utvecklade en ASO, anti-sense oligonucleotide, som i cellerna binder sig till Huntingtongenens messenger-RNA (mRNA). Detta leder till att denna mRNA bryts ner av ett enzym, och därför minskas cellernas produktion av Huntingtonproteinet. Det stora läkemedelsföretaget Roche övertog rättigheterna till denna ASO. Roche genomförde en fas 1 studie då denna ASO injicerades i ryggsvätskan på Huntingtonpatienter. Resultaten var så positiva att RocheGenentech beslöt att genomföra en fas 3 studie, som man hoppades skulle leda fram till möjligheten att registrera ett läkemedel. Man gav ASO:n namnet Tominersen och studien namnet GENERATION HD 1. Totalt 101 sjukhus runt om i världen involverades och studien siktade på att rekrytera närmare tusen personer med Huntingtons sjukdom, varav några fick placebo (injektioner utan Tominersen) och resten injicerades i ryggsvätskan med Tominersen. Stora läkemedelsstudier övervakas alltid av en Independent Data Monitoring Committee (IDMC) bestående av olika experter.

2021 kan vi hoppas att data är analyserade och att vi kommer att få veta varför studien stoppades. Dessa resultat kan ge viktig information för framtida studier med "gene silencing".

Leif Wiklund, neurolog, styrelseledamot i RHS