

FDA zatwierdza nowy lek na objawy choroby Huntingtona

Deutetrabenazyna pierwszym w tej dekadzie nowym lekiem dopuszczonym przez FDA do leczenia objawów ruchowych HD



Napisany przez Dr Jeff Carroll | maj 22, 2017

Zredagowany przez Dr Tamara Maiuri | Przetłumaczony przez Arkadiusz Szatkowski
Po raz pierwszy opublikowany kwiecień 05, 2017

Znacząca wiadomość o chorobie Huntingtona w tym tygodniu: amerykańska instytucja kontrolująca rynek leków (FDA) oficjalnie zezwoliła na przepisywanie pacjentom z HD leku o nazwie Austedo (znanego również jako deutetrabenazyna). Ta zmodyfikowana forma tetrabenazyny zmniejsza nasilenie płasawicy - ruchów mimowolnych spotykanych u pacjentów z HD. Lek ten trzeba przyjmować dwa, a nie trzy razy dziennie.

Przypomnienie tetrabenazyny

Tetrabenazyna jest bardzo długo stosowana w leczeniu choroby Huntingtona - uprzednio omawialiśmy ją w HDBuzz [tutaj](#) i [tutaj](#). Lek pomaga kontrolować przypominające taniec ruchy mimowolne związane z chorobą. W niektórych krajach (np. w Wielkiej Brytanii) tetrabenazynę dopuszczono do stosowania w HD w latach siedemdziesiątych ubiegłego wieku, jednak dopiero w 2008 r. stała się pierwszym w Stanach Zjednoczonych lekiem, który uzyskał oficjalną aprobatę do stosowania w HD.

Kontrolowanie płasawicy może być ważną częścią walki z objawami HD, wielu pacjentów z HD dzięki tetrabenazynie doznało ulgi. Jednak jak wszystkie leki, również tetrabenazyna ma działania niepożądane, w tym zwiększone ryzyko depresji i myśli samobójczych. Kolejnym problemem z tetrabenazyną jest to, że jest ona szybko przetwarzana przez organizm, więc wielu pacjentów musi przyjmować trzy tabletki dziennie. Jest to szczególnie trudne w przypadku HD, gdyż ze względu na problemy z myśleniem i pamięcią nietrudno zapomnieć o kolejnej dawce leku.

Z powodu tych problemów, mała firma biotechnologiczna o nazwie Auspex Pharmaceuticals opracowała ulepszoną wersję tetrabenazyny (opisaną [tutaj](#)). Nową wersję tetrabenazyny nazwano **deutetrabenazyną** (a czasami **SD-809**), ponieważ w strukturę tetrabenazyny włączono atomy **deuteru**. Taka poprawka pozwala na dłuższe utrzymywanie leku w krwioobiegu - co oznacza, że tabletki są potrzebne rzadziej.

Huntington Study Group (we współpracy z firmą Auspex) przeprowadziła w latach 2013-2015 dwa badania deutetrabenazyny, nazywane First-HD i ARC-HD. Deutetrabenazynę badano na dwa różne sposoby - w badaniu First-HD sprawdzano, czy deutetrabenazyna była lepsza od placebo w kontrolowaniu płasawicy. Wyniki tego badania były pozytywne - tak jak w wypadku tetrabenazyny, leczenie deutetrabenazyną redukuje płasawicę u chorych na HD. Badanie ARC-HD miało na celu sprawdzenie bezpieczeństwa zamiany tetrabenazyny na deutetrabenazynę wśród pacjentów. Stosowanie nowego leku okazało się bezpieczne.

Co dzieje się teraz?

W ostatnim czasie, w historii deutetrabenazyny nastąpiło kilka nowych wydarzeń. Po pierwsze, Auspex został kupiony przez izraelską firmę farmaceutyczną Teva. Po drugie, w oparciu o sukcesy badań ARC-HD i First-HD, Teva wniosła do amerykańskiej FDA o zatwierdzenie deutetrabenazyny w leczeniu HD.

Proces zatwierdzania deutetrabenazyny nabrał prędkości w połowie 2016 r., kiedy FDA spytała firmę Teva o dodatkowe informacje na temat leku. Deutetrabenazyna jest pierwszym lekiem zawierającym atomy deuteru, stosowanym u ludzi, dlatego też szczególna ostrożność Tevy i FDA wydaje się uzasadniona.

W tym tygodniu Teva ogłosiła, że odpowiedzi usatysfakcjonowały FDA, która zatwierdziła deutetrabenazynę do stosowania u pacjentów z HD w Stanach Zjednoczonych. To oznacza, że FDA uznała lek za bezpieczny w użyciu. Ponieważ lek zostanie wprowadzony do obrotu i będzie sprzedawany, otrzymał kolejną, tym razem komercyjną nazwę, czyli **Austedo**.

Co z kosztami?

Pierwsze wskazania sugerują, że Austedo może być nieco **tańszy** niż tetrabenazyna. Wczesne oficjalne oświadczenia Tevy sugerują, że Austedo może kosztować o jedną trzecią mniej niż równoważna dawka tetrabenazyny. Trudno przewidzieć, jak wprowadzenie nowego leku wpłynie na wszystkie koszty leczenia pacjentów z HD, sytuacja może się zmienić. Na przykład producenci tetrabenazyny mogą zmienić swoje ceny lub też nowy lek może stać się droższy, jeśli popyt okaże się niższy niż oczekiwano.

Wiadomość do zapamiętania

Historia badań nad tetrabenazyną zakończyła się szczęśliwie, czekamy teraz na doniesienia o doświadczeniach pacjentów z nowym lekiem. Społeczność HD miała swój udział, poprzez zgłaszanie się i uczestnictwo w testach prowadzonych przez HSG, podczas gdy Auspex i Teva wykonały trudne prace w procesie zatwierdzania leku.

Austedo staje się nową bronią dla rodzin i lekarzy, walczących z objawami występującymi u pacjentów z HD. Każda skuteczna terapia jest mile widzianym wsparciem, ponieważ pracujemy nad opracowaniem leków, które spowolnią lub zapobiegną objawom.

Autorzy nie zgłosili konfliktu interesów. Aby uzyskać więcej informacji na temat naszej polityki informacyjnej zobacz FAQ...

SŁOWNIK

placebo Placebo to substancja nie zawierająca aktywnych składników. Efekt placebo to efekt psychologiczny, powoduje, że ludzie czują się lepiej, nawet jeśli biorą pigułkę, która nie działa.

© HDBuzz 2011-2019. Treści HDBuzz można rozpowszechniać na warunkach Ogólnej Licencji Creative Commons: Uznanie autorstwa - Na tych samych warunkach, 3.0 .

HDBuzz nie jest źródłem porad medycznych. Aby dowiedzieć się więcej zobacz hdbuzz.net

Wygenerowano styczeń 23, 2019 — Pobrane z <https://pl.hdbuzz.net/236>

Część tekstu na tej stronie nie została jeszcze przetłumaczona. Tekst widnieje w języku, w którym oryginalnie został napisany. Staramy się przetłumaczyć całą treść jak najszybciej będzie to możliwe.