

Aktualizacja PTC Therapeutics na temat badania PIVOT-HD

Firma PTC Therapeutics wydała oświadczenie o wstrzymaniu rekrutacji osób w amerykańskim ramieniu badania PIVOT-HD. W tym artykule wyjaśnimy dokładnie, co wiadomo i co oznacza to oświadczenie.



Napisany przez Dr Rachel Harding i Dr Leora Fox grudzień 12, 2022

Zredagowany przez Dr Tamara Maiuri Przetłumaczony przez Sabina Mydlarz
Po raz pierwszy opublikowany listopad 02, 2022

Rekrutacja uczestników w amerykańskim ramieniu badania PIVOT-HD firmy PTC Therapeutics została wstrzymana. Od tego oświadczenia pojawiło się wiele różnych (i dezorientujących!) nagłówków o wstrzymaniu rekrutacji. W tym artykule wyjaśnimy, co wiadomo i co oznacza ten komunikat.

Jaki jest cel badania PIVOT-HD?

Badanie PIVOT-HD, prowadzone przez PTC Therapeutics, ma za zadanie sprawdzić, czy lek PTC518 działając poprzez obniżenie poziomu białka huntingtyny, może być korzystny dla pacjentów z chorobą Huntingtona (HD). PTC518 może być przyjmowany w formie tabletki i jest rodzajem leku określanym jako modulator splicingu (składania RNA). Ten typ leku może zmienić to, w jaki sposób przetwarzana jest informacja genetyczna, co wpływa na poziom kodowanych przez nią cząsteczek białka.

W przypadku PTC518 lek ten wpływa na to, jak nasz organizm przetwarza informację genetyczną tworzoną przez gen HD, co skutkuje obniżeniem poziomu białka huntingtyny. PTC518 nie rozróżnia niewydłużonej od wydłużonej wiadomości genetycznej huntingtyny, więc zarówno poziom formy prawidłowej i toksycznej tego białka zostaje obniżony. Więcej na temat tego, jak działa PTC518 można znaleźć w artykule, który napisaliśmy na początku tego roku.

PIVOT-HD jest badaniem fazy II, w którym zostaną przetestowane dwie różne dawki PTC518, z opcją trzeciej dawki w zależności od otrzymanych wyników oraz zastosowaniem kontroli placebo. Badanie potrwa łącznie 12 miesięcy, wliczając w to początkowy, trzymiesięczny okres ustalenia dawki, a następnie dziewięciomiesięczny okres, podczas którego będą pobierane próbki krwi, płynu mózgowo-rdzeniowego, a także wykonywane inne pomiary, aby sprawdzić, jak uczestnicy reagują na lek.

Co przedstawiono w aktualizacji?

Osiemnastego października PTC opublikowało komunikat, który potwierdził, że rekrutacja do badania klinicznego jest aktywna i trwa. W ogłoszeniu potwierdzono również, że badanie posiada zgodę zarówno europejskich, jak i australijskich agencji na kontynuowanie badania zgodnie z planem.

Pomimo że rekrutacja do badania w Stanach Zjednoczonych już się rozpoczęła, to jednak została wstrzymana. PTC ponownie podkreśliło w swoim oświadczeniu, że nie nastąpiło to w związku z zaobserwowaniem żadnego skutku ubocznego spowodowanego przez lek. Powodem przerwy jest to, że główna agencja regulująca bezpieczeństwo leków w USA, FDA, zwróciła się z prośbą do PTC o dostarczenie dodatkowych danych, aby badanie w USA mogło być nadal prowadzone zgodnie z planem.

Więcej szczegółów na temat wstrzymania rekrutacji w USA

Drugiego listopada podczas webinaru zorganizowanego przez Amerykańskie Towarzystwo Choroby Huntingtona, dyrektor operacyjny PTC, dr Matthew Klein, omówił szczegółowo przyczyny wstrzymania badania przez FDA. Najpierw wyjaśnił, że czas przez jaki lek może być testowany u ludzi, powinien zwykle odpowiadać okresowi, przez jaki lek ten był testowany na zwierzętach. Zazwyczaj jeśli firma chce testować lek u ludzi przez 9 miesięcy lub dłużej, musi być on przetestowany na zwierzętach co najmniej przez 9 miesięcy i w dawkach odpowiadających tym, które będą badane u ludzi.

Kiedy PTC rozpoczynało badanie PIVOT-HD, dysponowało trzymiesięcznymi, obiecującymi danymi badań na zwierzętach, co pozwalało na rozpoczęcie trzymiesięcznego badania z udziałem ludzi. W międzyczasie firma PTC wiedziała, że otrzyma wyniki 9-miesięcznego badania na zwierzętach, więc mogła ubiegać się o przedłużenie badania do 1 roku u ludzi. Kiedy otrzymano wyniki trwających dłużej badań na zwierzętach, a dane bezpieczeństwa oraz dawkowania pozostawały zachęcające, zwrócono się do agencji, takich jak FDA w Stanach Zjednoczonych czy EMA w Europie, o przedłużenie badań z udziałem ludzi.

Podczas gdy agencje w kilku krajach (na przykład w Australii, Wielkiej Brytanii, Niemczech czy Holandii) zatwierdziły dłuższe badanie, FDA w Stanach Zjednoczonych zwróciła się z prośbą o większą ilość danych na zwierzętach przed rozszerzeniem badania na ludziach. Na tym etapie nie jest podane do publicznej wiadomości, jakie dokładnie dane były wymagane. Obecnie PTC współpracuje z FDA, aby kontynuować badanie w Stanach Zjednoczonych, jednocześnie koncentrując swoje wysiłki na rekrutacji w aktywnych ośrodkach w innych krajach.

Co to oznacza dla badania PIVOT-HD?

W przypadku ośrodków badawczych poza Stanami Zjednoczonymi badanie PIVOT-HD będzie przebiegało zgodnie z planem. O ile nam wiadomo, gdy PTC spełni nowe kryteria ustalone przez FDA, badanie będzie również kontynuowane w USA.

Można było zauważyć, że na niektórych blogach lub stronach z wiadomościami farmaceutycznymi pojawiły się różne opinie, na temat tego, co to oznacza dla przyszłości PTC518, jako leku w chorobie Huntingtona. Niestety, niektóre z tych artykułów nie są oparte na faktach, a jedynie na daleko idących domysłach.

Należy pamiętać, że zadaniem FDA jest zapewnić, aby badania kliniczne były bezpieczne, etyczne i naukowo uzasadnione. Nie jest rzadkością, że FDA prosi o dodatkowe dane przed kontynuowaniem próby klinicznej, ponieważ w ich gestii leży działanie w najlepszym interesie uczestników badania.

Kiedy dowiemy się więcej?

PTC Therapeutics planuje następną aktualizację dotyczącą tej próby w pierwszej połowie 2023 roku, kiedy udostępni dane z pierwszej, 12-tygodniowej części badania.

Spodziewamy się również, że PTC Therapeutics poinformuje, gdy rekrutacja w USA zostanie wznowiona.

Gdy tylko pojawi się kolejna aktualizacja, HDBuzz ponownie napisze o niej, aby na bieżąco informować społeczność HD.

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.

RNA substancja chemiczna, podobna do DNA, tworzy cząsteczkę 'wiadomości', wykorzystywana przez komórkę podczas produkcji białek jako kopia robocza genu.

© HDBuzz 2011-2025. 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 maj 16, 2025 — Pobrany z <https://pl.hdbuzz.net/336>