



Medexpress, 2021-04-30 11:31

SMA: Nowe i bardziej czułe sposoby oceny klinicznej



Fot. Getty Images/iStockphoto

Podczas Konferencji Amerykańskiej Akademii Neurologii (AAN) 2021 przedstawiono nowe dane dotyczące programu rozwoju klinicznego nusinersenu, którego celem jest optymalizacja wyników leczenia osób z rdzeniowym zanikiem mięśni (SMA) oraz pogłębienie wiedzy na temat tej choroby.

Badanie możliwości optymalizacji leczenia SMA

Badanie DEVOTE fazy 2/3 ocenia, w oparciu o udowodnioną skuteczność i ugruntowane bezpieczeństwo nusinersenu w szerokiej populacji pacjentów z SMA, bezpieczeństwo, tolerancję i potencjał jeszcze lepszej skuteczności nusinersenu podawanej w dawce wyższej niż obecnie zarejestrowana. Obejmuje ono: Część A - otwarte badanie oceniające bezpieczeństwo, Część B - kluczowe, podwójnie zaślepione, randomizowane badanie z aktywną kontrolą oraz Część C - badanie otwarte z kohortą pacjentów przechodzących z zatwierdzonej 12-miligramowej (mg) dawki nusinersenu na wyższą dawkę.

Analiza protokołu obejmującego wyższą dawkę nasycającą i wyższą dawkę podtrzymującą w Części A (n=6; 28 mg) nie wykazała nowych zagrożeń dla bezpieczeństwa stosowania u uczestników, których obserwowano przez okres około pięciu miesięcy (64-158 dni). Nie zgłoszono żadnych działań niepożądanych, które uznano by za związane z wyższą dawką badanego leku, nie wystąpiły też ciężkie ani poważne działania niepożądane. Czterech pacjentów zgłosiło łagodne lub umiarkowane działania niepożądane, w tym działania uznawane za związane z procedurą podawania leku. Wyłączając się z badania profil bezpieczeństwa ugruntowuje trwające nieprzerwanie prace Biogen nad zwiększeniem

dawki nusinersenu oraz wspiera kwalifikację pacjentów do kluczowej części B badania DEVOTE. W części tej zostanie oceniony protokół podawania wyższej dawki (2 dawki nasycające 50 mg w odstępie dwóch tygodni, a następnie dawki podtrzymujące 28 mg co cztery miesiące) w porównaniu z zatwierdzoną dawką 12 mg leku: cztery dawki nasycające, a następnie dawki podtrzymujące co cztery miesiące.¹ Więcej informacji o badaniu DEVOTE można znaleźć na stronie ClinicalTrials.gov (NCT04089566).

Wykorzystanie biomarkerów i narzędzi cyfrowych do lepszego monitorowania chorób

Biogen prowadzi badania mające na celu ocenę wykorzystania biomarkerów i narzędzi cyfrowych rozszerzających zakres tradycyjnej oceny klinicznej i wprowadzających bardziej czułe sposoby oceny, aby pomóc w lepszym przewidywaniu i monitorowaniu przebiegu SMA.

Nowe dane uzyskane u pacjentów (n=75) w badaniach CHERISH/SHINE stanowią uzupełnienie dowodów, które sugerują, iż poziom neurofilamentów - wskaźnika bieżącej aktywności biologicznej choroby - zasługuje na pogłębioną analizę jako biomarker odpowiedzi na leczenie w SMA. Dane w okresie średniej obserwacji wynoszącej 4 lata pokazują, że wyższe poziomy neurofilamentów na początku leczenia wiązały się przeważnie z większą poprawą w zakresie funkcji motorycznych u pacjentów z SMA o późniejszym początku leczonych nusinersenem. Wykorzystanie biomarkerów może pozwolić na lepsze zrozumienie mechanizmów choroby i leczenia SMA i innych chorób neurologicznych. Dlatego też pomiar poziomu neurofilamentów został włączony do badań DEVOTE i RESPOND jako badawczy punkt końcowy (NCT04488133).

Ponadto Biogen opracował, w porozumieniu z ekspertami w dziedzinie SMA, koncepcyjne ramy kliniczne w celu oceny potencjalnej wartości Konectom™ - aplikacji na urządzenia mobilne umożliwiającej osobom dorosłym, chorym na SMA ilościową, zdalną samoocenę funkcji motorycznych w ich codziennym życiu. Konectom, stosowany obecnie tylko w badaniach naukowych, wykorzystuje inteligentne technologie sensoryczne, takie jak ekran dotykowy i akcelerometrię, do zbierania rzeczywistych danych w badaniach dotyczących chorób neurologicznych. W przypadku SMA monitorowanie poziomu zmęczenia i umiejętności pisania na smartfonie może być przydatne do oceny poziomu funkcjonowania pacjentów o różnym stopniu zaawansowania choroby. Biogen zgłębia również potencjalną przydatność aplikacji Konectom w leczeniu stwardnienia rozsianego i innych chorób neurologicznych w celu uzyskania dokładniejszego i pełniejszego obrazu wpływu, jaki choroby neurologiczne wywierają na codzienne życie pacjenta.

Źródło: mat. prasowe