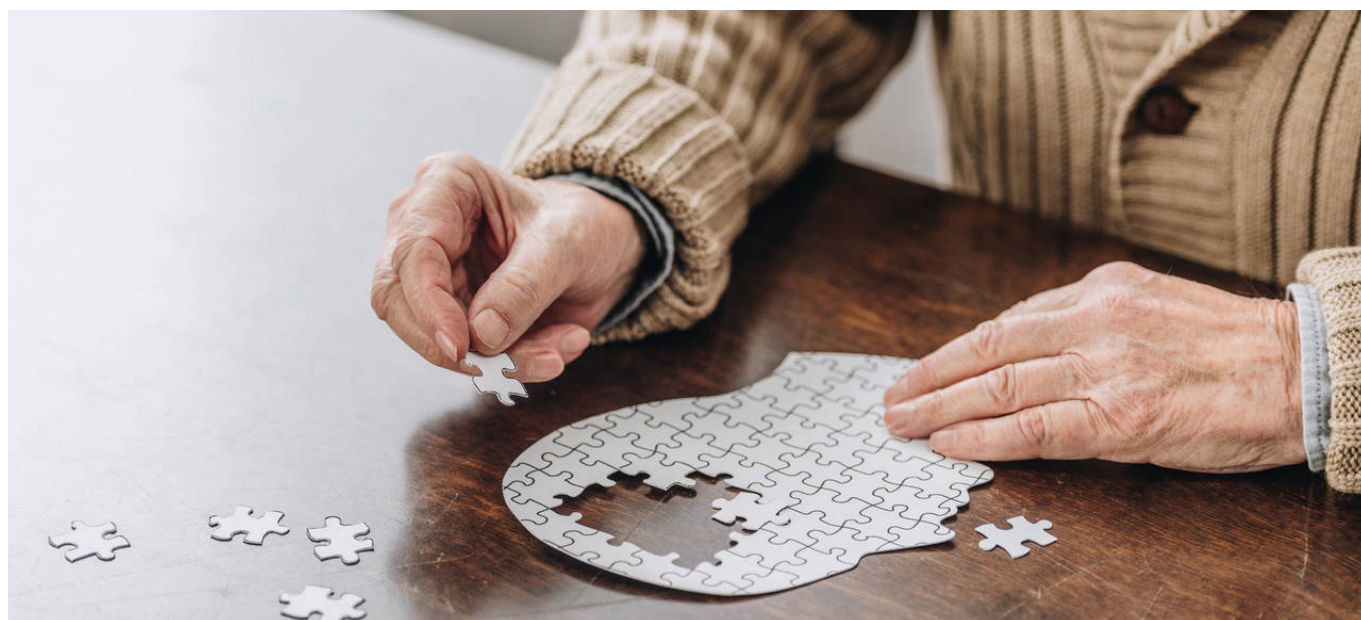




Medexpress, 2021-06-08 10:56

Choroba Alzheimera: Zarejestrowano pierwszy lek modyfikujący przebieg choroby



Fot. Getty Images/iStockphoto

Amerykański regulator w trybie tzw. przyspieszonej ścieżki zatwierdził opracowaną przez firmę Biogen cząsteczkę (aducanumab), która działa na prawdopodobną przyczynę choroby Alzheimera.

To, jak ważna jest to informacja w branży farmaceutycznej świadczy chociażby fakt, że notowania producenta na amerykańskiej giełdzie skoczyły o ponad 50 proc., osiągając najwyższy poziom od sześciu lat. Biogen wycenił lek, który będzie sprzedawany pod nazwą Aduhelm, na 56 tys. dolarów rocznie.

Aducanumab działa poprzez usuwanie złogów białka zwanego beta-amyloidem z mózgu pacjenta, u którego zdiagnozowano wczesne stadium choroby Alzheimera. „To dobra wiadomość dla chorych. Do tej pory nigdy wcześniej nie zatwierdzono terapii modyfikującej chorobę” – skomentował doktor Ronald Petersen, ekspert ds. choroby Alzheimera w Mayo Clinic.

Doktor Patrizia Cavazzoni, dyrektor Centrum Oceny i Badań Leków FDA, w rozmowie z agencją Reutersa powiedziała, że przyspieszona procedura zatwierdzenia leku pozwala na pojawienie się pewnej dozy niepewności co do korzyści klinicznych leku. Dodała, że producent jest zobowiązany do przeprowadzenia potwierdzającego badania klinicznego, na co ma kilka lat.

Jak zwykle w przypadku tak przełomowych terapii środowisko ekspertów jest podzielone na wielkich entuzjastów osiągnięć nauki i ostrożnych sceptyków, którzy oczekują większej ilości dowodów na działanie leku. „Jestem zaskoczony i rozczarowany” – powiedział doktor Caleb Alexander, badacz z Johns Hopkins, członek komitetu doradczego FDA głosujący przeciwko zatwierdzeniu leku Biogen. „Trudno znaleźć naukowca, nawet związanego z producentem, który uważałby, że całość wyników badań klinicznych jest przekonująca” – skomentował.

Z kolei doktor Howard Fillit, dyrektor ds. nauki w Fundacji Alzheimer's Drug Discovery podkreśla, że decyzja regulatora była słuszna. Jak twierdzi, taki rodzaj zatwierdzenia sprawia, że preparat jest dostępny dla pacjentów i jednocześnie firma jest zobowiązana do przeprowadzenia dalszych badań w celu udowodnienia jego korzyści.

Regulator zastrzegł, że jeśli proces badawczy po zatwierdzeniu leku nie wykaże, że Aduhelm działa zgodnie z przeznaczeniem, może zostać wycofany z rynku. W czasie przeprowadzanych badań klinicznych, niektórzy pacjenci doświadczali potencjalnie niebezpiecznego obrzęku mózgu. FDA zaleciła, aby chorzy, u których wystąpił ten efekt uboczny, byli monitorowani, ale nie jest konieczne odstawienie leku.

Przypomnijmy, że choroba Alzheimera jest szóstą najczęstszą przyczyną zgonów w Stanach Zjednoczonych. Według Stowarzyszenia Alzheimera oczekuje się, że do 2050 r. liczba Amerykanów żyjących z tą chorobą wzrośnie z obecnych 6 do około 13 milionów.

Adukanumab badano u pacjentów z wczesnym stadium choroby, u których wynik testu na składnik płytek amyloidowych w mózgu był dodatni, ale zatwierdzenie przez FDA nie wskazuje, że jest on przeznaczony dla określonej grupy pacjentów. To rodzi prawdopodobieństwo, że populacja, którą można leczyć tym lekiem może być większa niż oczekiwano. Mimo to, większość ubezpieczycieli prawdopodobnie ograniczy zakres ubezpieczenia leku do populacji odpowiadającej uczestnikom badania.

Steve Miller, dyrektor kliniczny w firmie ubezpieczeniowej Cigna Corp, szacuje że 85- 90 proc. pacjentów w USA kwalifikujących się do tej terapii jest objętych ubezpieczeniem Medicare. „Byłbym bardzo zaskoczony, gdyby jakkolwiek płatnik, w tym Medicare, udostępnił go szerszej populacji niż badana” – podsumował Miller.

Firma Biogen oszacowała, że około 1,5 miliona Amerykanów kwalifikowałoby się do leczenia aducanumabem podawanym w comiesięcznym wlewie. Analitycy z Wall Street szacują obecnie, że szczytowa roczna sprzedaż leku mogłaby wynieść od 10 do 50 miliardów dolarów.

Rozwój aducanumabu był uważnie obserwowany w Japonii, która ma sporą populację osób starszych i około 4,6 miliona osób cierpiących na demencję. Eisai, japoński producent leków, ma własnego kandydata na lek na chorobę Alzheimera o nazwie BAN2401, który jest obecnie w fazie badań. Według analityków z Wall Street zatwierdzenie leku Biogen może ożywić ten obszar medycyny, który od dłuższego czasu obfitował jedynie w szereg niepowodzeń badawczych.

Źródło: Reuters