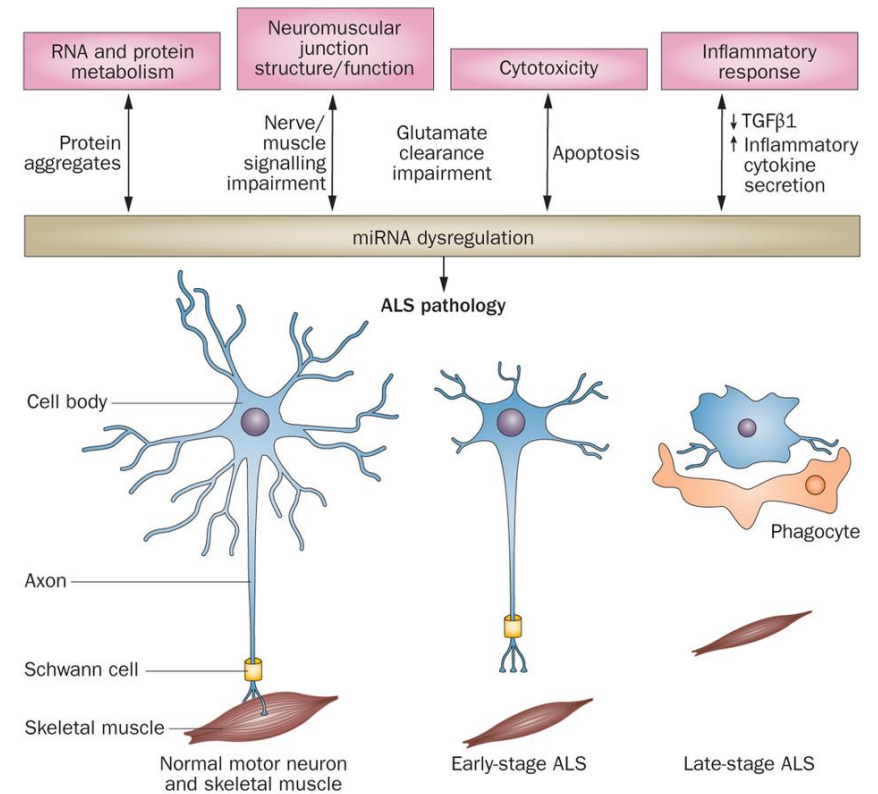


Novinky ve výzkumu ALS aktuální klinické studie

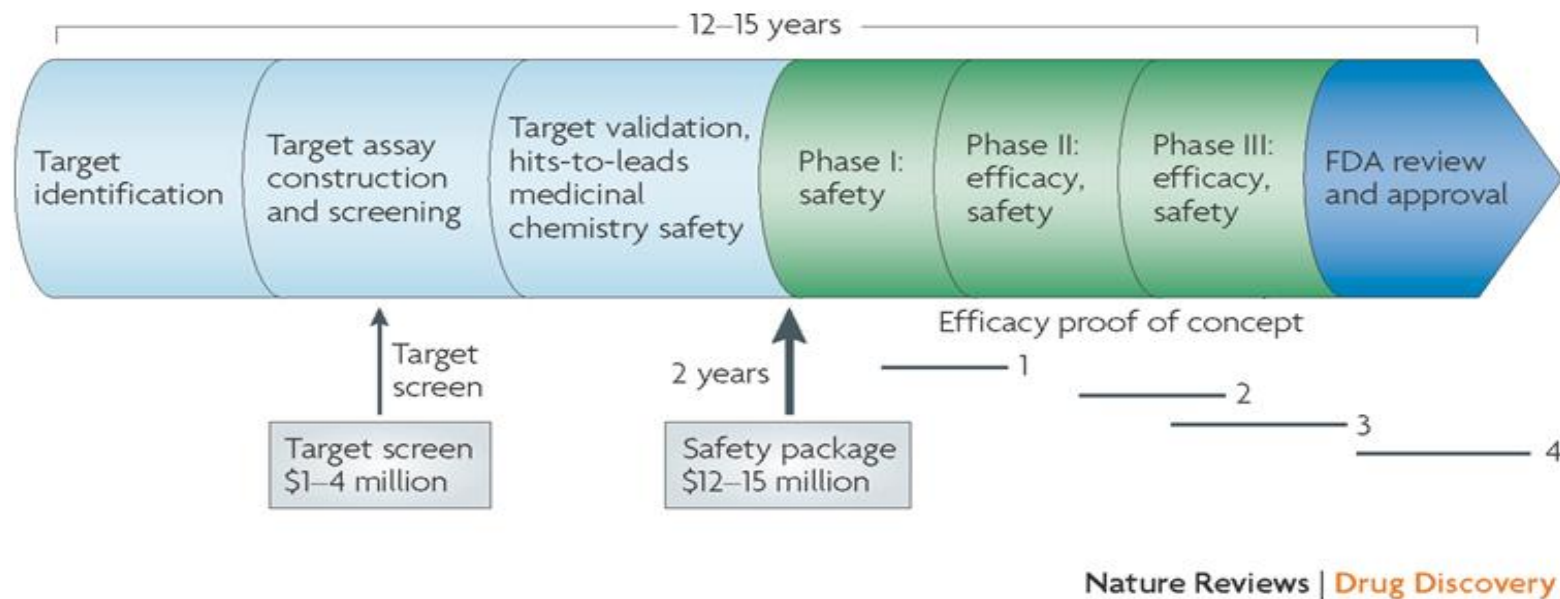
MGR. LENKA ŠLACHTOVÁ, PHD.

Amyotrofická laterální skleróza - ALS

Neurodegenerativní onemocnění motorických neuronů – tj. nervových buněk umožňujících pohyb hladkého svalstva



Průběh vývoje nových léků



1. Vývoj léku – molekuly

2. Preklinické studie

3. Klinické studie

4. Schválení FDA – dostupnost na trhu

5. Schválení SÚKL

Cena > 2 miliardy \$

Průměrná cesta vývoje léků, zájem o ALS a kampaně celý proces výrazně zrychlují

Icebucket challenge



Sbírka umožnila objev nových genů – např. NEK1 a financování preklinických i klinických studií

Terapeutika aktuálně ve výzkumu

1. Edaravone
2. Masitinib
3. Tirasemtiv
4. Kmenové buňky s neurotrofickými faktory
5. CuATSM
6. GM604



1. Edaravone

- Funkce: antioxidant, vychytává volné radikály
- Radicut (intravenozní forma, výrobce Mitsubishi Tanabe), kvalitní preklinická i klinická data, schválen v Japonsku a J.Korei, FDA bude schvalovat pro USA 06/2017, v ČR SUKL
- TW 001 (orální, výrobce Treeway), potřeba vyladit dávkování, orální forma není momentálně v klinických studiích

2. Masitinib - AB

- Funkce: protizánětlivý, cílí na makrofágy, mikroglie
- Kvalita studie: málo dat na modelech, ale dobrá velikost souboru
- Dostupnost: závěry ze II/III fáze budou dostupny koncem května, s výrobcem jsme v kontaktu a v závislosti na výsledcích studií budeme řešit dostupnost pro pacienty v ČR. Čeká se na schválení EMA = konec roku 2017

3. Tirasemtiv

- Funkce: aktivuje svalstvo, včetně nervově poškozeného
- Kvalita studie: dobře rozpracovaná preklinická část na modelech, klinická část má dobrou velikost souboru. Nejnovější výsledky ukazují možnost ovlivnění progresu, studie ale stále probíhá
- Dostupnost: Výsledky budou známy ke konci roku 2017

4. KB s neurotrofickými faktory

- Funkce: používají se KB pacientů tak, aby se vytvořily gliové buňky, které vylučují podpůrné faktory, Izrael
- Kvalita: několik studií v USA a Izraeli, menší soubory, ukončená fáze I a II – hodnocena bezpečnost a efektivita.
- Dostupnost: je potřeba provést velkou studii ve fázi III. Dostupná data nebyla přesvědčivá ke schválení o zrychlenou registraci u FDA

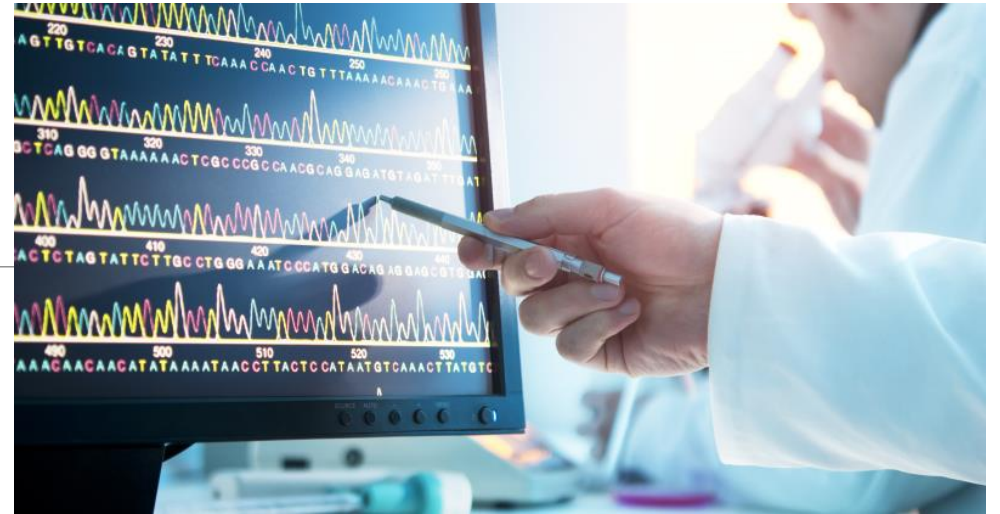
5. CuATSM

- sloučeniny mědi, které cílí na oxidativní stres
- velmi slibná preklinická data
- momentálně začínají 1. klinické testy v Austrálii, zvyšuje se dávka a testuje se tolerance látky

6. GM604

- účinnou „látkou“ jsou neurotrofické faktory = faktory podporující růst nervových buněk
- chybějící data na velkém souboru, z toho důvodu není umožněn zrychlený postup pro FDA schválení
- od posledních reklamních vyjádření společnosti nejsou dostupná žádná data, žádné vědecké publikace

Závěr:



V současné době není lék, který by vyléčil ALS, přichází se ale s látkami které významně prodlužují přežívání.

Některé z uvedených terapeutik jsou na začátku cesty, ale několik z nich má slibné výsledky.

V ALSE nové léky sledujeme a doufáme, že přineseme brzy další pozitivní informace!

Webinář byl realizován díky podpoře

