

Pfizers Amaryllis-forsøg ender i skuffelse: ingen forbedring af symptomerne ved Huntingtons Sygdom

Pfizer annoncerer, at 'Amaryllis'-afprøvning af PDE10 inhibitor ikke forbedrer HS-symptomer



Skrevet af [Professor Ed Wild](#)

16. maj 2017

Redigeret af [Dr Jeff Carroll](#)

Oversat af [Mette Gilling Nielsen](#)

Oprindeligt offentliggjort 16. december 2016

Pfizer har meddelt, at den første analyse af deres 'Amaryllis' -forsøg, der afprøvede et PDE-10-hæmmende lægemiddel, viser, at stoffet ikke opfyldte sit mål om at forbedre symptomerne ved Huntingtons Sygdom. Som følge heraf stoppes det 'open label'-forsøg, der kører. Det er ikke de nyheder, vi havde håbet på, men vi har lært meget om HS undervejs.

Ingen forbedring af symptomer

På et telefonmøde i går meddelte Pfizer de involverede læger om de negative resultater fra de første analyser af **Amaryllis**-forsøget. Desværre viste forsøgsmedicinen ikke nogen signifikant forbedring af det hovedsymptom, den var rettet mod - bevægelsesfunktionen - eller nogen af de andre symptomer, den kunne have hjulpet på: evnen til at tænke, adfærdsmæssige problemer og forbedring af dagligdags aktiviteter.



Blomsten 'amaryllis' er symbolet på det globale HS-fællesskab. På trods af dette negative forsøgsresultat vil vi blive ved med at kæmpe.

Som følge heraf har virksomheden besluttet at stoppe det open-label forlængelsesforsøg, der stadigvæk var i gang og som mange forsøgsdeltagere i Amaryllis-forsøget var overgået til.

Amaryllis-forsøget undersøgte et eksperimentelt lægemiddel betegnet **PF-02545920**, som virker på signalstoffer inde i hjernecellerne. Man havde håbet på, at det ville forbedre kommunikationen mellem neuronerne, hvilket er en af de ting, der går galt i HS-hjerner. PF-02545920 reducerer aktiviteten af en molekylær genbrugsmaskine kaldet fosfodiesterase 10, så det er kendt som en **PDE10-inhibitor**.

Forsøget inkluderede 271 personer med Huntingtons Sygdom fra fem lande. Ved afslutningen af forsøget blev deltagerne inviteret til at deltage i et **open label forlængelsesforsøg**, hvor de modtog den aktive forsøgsmedicin i den højeste dosis, de kunne tåle. Deltagerne i dette forlængelsesforsøg vil nu blive kontaktet for at blive informeret om det negative resultat af forsøget og instrueret i, hvordan man reducerer og stopper studiemedicinen. **Deltagerne skal vente på at de bliver kontaktet eller selv sætte sig i kontakt med de læger, der deltager i forsøget lokalt, da man ikke bare bør stoppe medicinen med det samme.**

Hvorfor virkede det ikke?

Det er virkelig svært at teste eksperimentelle lægemidler i mennesker - især for en sygdom, der er så svær at behandle som Huntingtons Sygdom. Nogle gange viser forsøgsmedicinen sig ikke at være sikker og forårsager uventet skade hos de patienter, der tager den. Det er meget vigtigt at bemærke, at så vidt vi ved, var dette **ikke** tilfældet i Amaryllis-forsøget: der var ingen større sikkerhedsproblemer i forsøget.

Den anden risiko er, at forsøgsmedicinen måske bare ikke virker så godt som håbet. Trods vores bestræbelser på kun at teste potentielle lægemidler, der ser lovende ud, er hjernen kompliceret. En hjerne med HS er ekstra kompliceret, fordi den ændrer sig hele tiden. Hvor god den videnskab, der går forud for en lægemiddelafrøvning, end er, kan vi aldrig helt forudsige, om forsøgsmedicin faktisk vil have den effekt, vi håber, når det gives til patienterne.

»På trods af det negative resultat har vi lært meget om Huntingtons Sygdom og PDE10 «

Et negativt forsøg, ikke et mislykket forsøg

Dette er utvivlsomt dårlige nyheder. Vi var begejstrede for lægemidlet og forsøget og Pfizer havde gjort et godt stykke arbejde ved at samarbejde med både det videnskabelige og familiemæssige HS-fællesskab for at studere PDE10 grundigt - i laboratoriet ved hjælp af hjerneskaninger og endelig med et velplanlagt og veludført forsøg.

Marielle Delnomdedieu, som ledede Amaryllis-forsøget for Pfizer, fortalte os: "Vi er meget skuffede over, at forsøgsmedicinen ikke forbedrede bevægelserne eller nogen af de andre symptomer ved HS. Men på trods af det negative resultat har vi lært meget om Huntingtons Sygdom og PDE10. Forsøgsdata vil være en vigtig ressource til videre HS-forskning. Vi er tilfredse med måden forsøget blev planlagt og kørt på og yderst taknemmelige over for de patienter og pårørende, der var involverede i forsøget."

Vi kunne ikke være mere enige. Alt det arbejde som forskere og HS-familiemedlemmer har udført har ikke været spildt. Takket være Pfizer og deres samarbejdspartnere har vi nu en meget bedre forståelse af, hvordan HS udvikler sig, og den rolle som PDE10-enzymet spiller i sygdommen. Forskerne vil fortsætte med at kæmpe de data igennem, der blev genereret under forsøget, for at forsøge at finde ud af hvorfor forsøgsmedicinen ikke forbedrede symptomerne som håbet. Andre vil fortsætte med at studere PDE10 og forsøge at komme med nye måder at forbedre kommunikationen på i hjerner med Huntingtons Sygdom.

Dr. Wild, der skrev denne artikel, deltog i forsøget som læge ved UCL, men han har ingen økonomisk interesse i Pfizer eller i resultatet af forsøget. For mere information om vores offentliggørelsespraksis kig under FAQ...

ORDLISTE

Fosfodiesterase et protein, der nedbryder cyklisk-AMP og cyklisk-GMP

Open label Et forsøg hvor både patienten og lægen ved hvilket medikament, der bruges. Disse forsøg kan i højere grad være påvirkede af bias via placeboeffekter.

Effekt et mål for om en behandling virker eller ej

PDE10 et hjerneprotein, der måske kan være et godt medicinsk mål og en biomarkør ved Huntingtons Sygdom. PDE10 findes næsten udelukkende i dele af hjernen, hvor hjerneceller dør ved HS.

© HDBuzz 2011-2020. Indholdet på HDBuzz kan frit deles under en Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz er ikke en kilde til lægefaglige råd. For mere information besøg hdbuzz.net

Dannet 24. oktober 2020 — Downloaded fra <https://da.hdbuzz.net/229>

Noget af teksten på denne side er endnu ikke blevet oversat. Det vises derfor nedenfor på originalsproget. Vi arbejder på at oversætte alt materiale så hurtigt som muligt.