

FDA godkender et nyt lægemiddel til afhjælpning af symptomer på Huntingtons Sygdom



Deutetrabenazin bliver det første nye lægemiddel i et årti, der er godkendt af FDA til symptombehandling af HS

Skrevet af Dr Jeff Carroll den 8. maj 2017

Redigeret af Dr Tamara Maiuri; Oversat af Nikolaj Siersbæk

Oprindeligt offentliggjort 5. april 2017

Det var vigtige nyheder for alle i HS-fællesskabet i denne uge, da lægemiddelmyndigheden i USA, FDA, formelt godkendte Austedo, også kendt som deutetrabenazin, til patienter med Huntingtons Sygdom. Denne modificerede form for tetrabenazin hjælper med at begrænse chorea, de ufrivillige bevægelser, der ofte ses hos HS-patienter, men tages to gange om dagen i stedet for tre.

Baggrundsviden om tetrabenazin

Tetrabenazin har længe været brugt som behandling ved Huntingtons Sygdom - hvilket tidligere har været omtalt i HDBuzz her og her. Medikamentet bruges til at begrænse de ufrivillige danse-lignende bevægelser, der er forbundet med sygdommen. Tetrabenazin blev godkendt til HS i 1970'erne i nogle lande, herunder Storbritannien, men først i 2008 blev det, som det første lægemiddel i USA, godkendt specifikt til HS.

Begrænsning af chorea kan være en vigtig del af kampen mod HS-symptomer, og mange HS-patienter bliver hjulpet af tetrabenazin. Men som ved alle lægemidler er der også ulemper ved at tage tetrabenazin, herunder en risiko for øget depression og selvmordstanker. Et andet problem med tetrabenazin er, at det hurtigt bliver nedbrudt i kroppen, så mange patienter bliver nødt til at tage pillerne tre gange om dagen. Dette er særligt problematisk ved HS, hvor folk kan have hukommelsesproblemer, der gør, at de nemt glemmer at tage deres medicin.

På grund af disse problemer udviklede en lille bioteknologisk virksomhed, kaldet Auspex Pharmaceuticals, en ændret udgave af tetrabenazin (beskrevet her). De kaldte denne nye version af tetrabenazin for **deutetrabenazin** (eller **SD-809**), fordi det involverede at skifte atomer kaldet **deuterium** ind i tetrabenazins struktur. Denne ændring hjælper lægemidlet med at forblive i blodstrømmen i længere tid - hvilket betyder, at pillerne ikke skal tages så ofte.

“The Huntington Study Group (HSG)” udførte to forsøg med deutetrabenazin i samarbejde med Auspex fra 2013-2015 kaldet First-HD og ARC-HD. I disse studier blev deutetrabenazin undersøgt på to forskellige måder - First-HD studiet undersøgte hvorvidt deutetrabenazin var bedre end placebopiller til at begrænse chorea. Resultaterne af dette forsøg var positive -

ligesom tetrabenazin reducerede behandling med deutetrabenazin chorea hos HS-patienter. ARC-HD studiet var designet til at sørge for, at det var sikkert for patienter, der tog tetrabenazin, at skifte til deutetrabenazin, hvilket det blev vist at være.

Hvad sker der nu?

For nyligt ændrede historien om deutetrabenazin sig på adskillige vigtige punkter. For det første blev Auspex købt af den israelske medicinalvirksomhed Teva. For det andet ansøgte Teva det amerikanske FDA om godkendelse til at benytte deutetrabenazin til behandling af HS baseret på succesene af ARC- og First-HD studierne.

Godkendelsesprocessen stødte på en forhindring i midten af 2016, da FDA efterspurgte yderligere information fra Teva om lægemidlet. Deutetrabenazin var på det tidspunkt det første lægemiddel til mennesker, der indeholder deuteriumatomer, så ekstra påpasselighed fra både Teva og FDA syntes på sin plads.

I denne uge annoncerede Teva, at FDA var blevet stillet tilfreds og havde godkendt deutetrabenazin til brug hos HS-patienter i USA. Dette tyder på, at alle FDAs yderligere sikkerhedsspørgsmål er blevet behandlet, og at de mener, at deutetrabenazin er sikkert at bruge. Eftersom lægemidlet nu bliver markedsført og solgt, får det endnu et (kommercielt) navn, som er **Austedo**.

Hvad med prisen?

Det tyder på, at Austedo ender med at være noget **billigere** end tetrabenazin. De første officielle udmeldinger fra Teva tyder på, at Austedo kan komme til at koste en tredjedel mindre end en tilsvarende dosis tetrabenazin. Det er svært at forudsige, hvordan introduktionen af et nyt lægemiddel vil påvirke de samlede omkostninger for HS-patienter, og tingene kan ændre sig i takt med at forbrugsmønstrene bliver tydelige. Eksempelvis kan producenten af tetrabenazin sænke prisen, eller det nye lægemiddel kan blive dyrere, hvis antallet af solgte enheder er lavere end forventet.

Det centrale budskab

Dette er en glædelig slutning på historien om deutetrabenazin, og vi ser frem til at høre, hvordan mennesker med HS tager imod dette nye lægemiddel ude i den virkelige verden. HS-miljøet hjalp ved hurtigt at udfylde og deltage i forsøg, der blev udført af HSG, mens Auspex og Teva gjorde det hårde arbejde med at få lægemidlet igennem godkendelsesprocessen.

Austedo er et nyt våben i arsenalet, der kan benyttes af familier og læger, der arbejder med at begrænse symptomerne ved HS. Alle effektive behandlinger mod symptomerne ved HS er en kærkommen støtte, mens vi arbejder på at udvikle lægemidler, der kan forhindre eller forsinke udviklingen af HS.

Forfatterne har ingen interessekonflikter. For mere information om vores offentliggørelsespraksis kig under FAQ...

Ordliste

Chorea Ufrivillige, uregelmæssige 'uroelige' bevægelser, der er almindelige ved HS

© HDBuzz 2011-2018. 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 16. februar 2018 — Downloaded fra <https://da.hdbuzz.net/236>