



# Behandling til neurologisk lidelse kan måske genbruges til patienter med Huntingtons Sygdom

Mens de udviklede et lægemiddel kaldet branaplam til patienter med SMA, opdagede medicinalfirmaet Novartis, at det måske også kunne have potentiale for patienter med HS. FDA har tildelt branaplam den særlige status kaldet orphan drug.

Skrevet af [Dr Rachel Harding](#) | 12. november 2020 | Redigeret af [Dr Leora Fox](#)

Oversat af [Cecilie Wennemoes Willert](#) | Oprindeligt offentliggjort 22. oktober 2020

---

**M**ens de udviklede et lægemiddel kaldet branaplam til patienter med SMA, opdagede medicinalfirmaet Novartis, at det måske også kunne have potentiale for patienter med HS. FDA har tildelt branaplam den særlige status kaldet orphan drug.

## Et eksisterende lægemiddel... til sænkelse af huntingtin?

Medicinalfirmaet Novartis har meddelt, at den amerikanske fødevarer- og lægemiddeladministration (FDA) har tildelt branaplam orphan drug status til behandling af Huntingtons Sygdom.

Branaplam blev oprindeligt udviklet til behandling af den neurologiske lidelse Spinal Muskelatrofi (SMA) og er stadig under kliniske undersøgelser for dette formål. Branaplam virker ved at påvirke hvordan genetiske meddelelser behandles i celler og kan øge niveauet af proteinet kaldet SMN2. Et "boost" af niveauerne af SMN2 hjælper SMA patienter, da de har lavere niveauer af dette protein, hvilket i mange tilfælde også er den underliggende årsag til sygdommen.

Interessant nok ser det ud til, at branaplam også reducerer niveauerne af den genetiske meddelelse for huntingtin og huntingtin proteinet. Dette er netop hvad huntingtin-sænkende behandlinger bestræber sig efter, og det er måden hvorpå mange forskere og virksomheder håber at kunne behandle Huntingtons Sygdom.

De huntingtin-sænkende behandlinger, som i øjeblikket er under kliniske forsøg, skal gives gennem rygmarvsinjektioner eller hjertekirurgi. Modsat disse er branaplam lægemidlet et lille molekyle, hvilket betyder, at det kan tages som en tablet. Hvis Novartis kan vise at branaplam er en effektiv behandling mod HS, ville det betyde, at det kunne gives som en

pille, hvilket er en langt mere praktisk mulighed for HS-patienter.

## Orphan drug status – hvad er næste skridt?

FDAs beslutning om at give orphan drug status for lægemidler sker normalt når der udvikles et lægemiddel til behandling af en sjælden sygdom, såsom Huntingtons Sygdom. Denne status giver fordele og incitament til firmaet som udvikler lægemidlet, i dette tilfælde Novartis, for at fremme udviklingen af nye lægemidler til sygdomme med kun en lille patientpopulation.

Der er stadig meget som forskerne ikke forstår omkring brugen af branaplam til behandling af HS-patienter. Pille-baserede behandlinger forventes at virke på hele kroppen, altså ikke kun på hjernen, og det er uklart hvad effekten af en huntingtin-nedregulering i hele kroppen kan være. Derudover ved vi allerede nu, at branaplam kan ændre niveauerne af både SMN2 og huntingtin, hvorfor niveauerne af andre proteiner sandsynligvis også vil ændre sig ved behandling med branaplam. Uden en fyldestgørende og præcis forståelse af hvad forskerne kalder "virkningsmekanismen", kan det blive svært at kortlægge nøjagtigt hvordan branaplam kan påvirke HS-symptomer. Den gode nyhed er dog at lægemidlet allerede har vist sig at være sikkert i en lille gruppe SMA-patienter.

Novartis er nu i gang med at designe et fase 2 klinisk forsøg med HS-patienter, som forventes at blive igangsat i år 2021. Vi håber snart at kunne give jer flere opdateringer!

---

*Dr. Rachel Harding erklærer ingen konflikter. Dr. Leora Fox arbejder for Huntington's Disease Society of America (HDSA). HDSA kommunikerer med og har en non disclosure agreement med Novartis, firmaet som er nævnt i denne artikel. [For mere information om vores offentliggørelsespraksis kig under FAQ...](#)*

---

### ORDLISTE

**Fødevarer- og lægemiddeladministration** Den amerikanske regeringsmyndighed med ansvar for godkendelse af nye lægemidler

**Klinisk forsøg** meget nøje planlagt studie designet til at besvare specifikke spørgsmål om hvordan et lægemiddel påvirker mennesker

---

© 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](https://hdbuzz.net)

Dannet 13. november 2020 — Downloaded fra <https://da.hdbuzz.net/294>

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.