

Ukončenie vývoja lieku NEOD001 na amyloidózu

Farmaceutická spoločnosť **Prothena Corporation** oznámila rozhodnutie o ukončení vývoja **NEOD001** - lieku, ktorý sa skúmal v klinických štúdiách na liečbu pacientov s amyloidózou. Rozhodnutie bolo prijaté, pretože liek nedosiahol výsledky očakávané v klinickom vývojovom programe.

Prothena Corporation je farmaceutická spoločnosť pracujúca v oblasti neurovedy a v oblasti zriedkavých ochorení.

Generálna riaditeľka spoločnosti Myeloma Patients Europe (MPE) Ananda Plate povedala:

„Toto je neočakávaná a extrémne neuspokojivá správa pre pacientov s amyloidózou (AL). Ako jeden z prvých liekov vyvinutých špeciálne pre amyloidózu, bol NEOD001 pre pacientov veľmi sľubný.

MPE v uplynulých rokoch rozvíjala dobré vzťahy s Prothenou. Teraz budeme s nimi spolupracovať na plnom pochopení situácie, ponaučení, ktoré z toho vyplývajú a čo sa stane s niektorými ich prebiehajúcimi záväzkami a projektmi v európskej komunite pacientov s amyloidózou“.

Čo je NEOD001?

NEOD001 je liečivo, ktoré sa skúma v klinických štúdiách na liečbu amyloidózy (AL). Ide o monoklonálnu protilátku zameranú na cirkulujúci, rozpustný a deponovaný agregovaný amyloid, ktorý sa hromadí u pacientov s amyloidózou a môže spôsobiť poškodenie a zlyhanie orgánov.

Prečo Prothena už NEOD001 nevyvíja?

Spoločnosť Prothena sa rozhodla zastaviť vývoj NEOD001, pretože klinický vývoj nespĺnil očakávania. Konkrétne bolo prijaté rozhodnutie z nasledujúcich dôvodov:

- výsledky prebiehajúcej klinickej štúdie fázy 2b PRONTO, ktorá skúmala bezpečnosť a účinnosť NEOD001 u pacientov s predtým liečenou AL s pretrvávajúcou srdcovou dysfunkciou. Štúdia nespĺnila svoje primárne alebo sekundárne koncové body (t.j. merania vykonané počas klinického skúšania, ktoré určovali, či skúšobná liečba fungovala)
- nezávislá analýza, vykonaná na klinickej štúdii fázy III VITAL (po výsledkoch PRONTO), ktorá skúmala bezpečnosť a účinnosť NEOD001 u liečených pacientov s amyloidózou so srdcovou dysfunkciou. Analýza zistila, že štúdia VITAL pravdepodobne nepriniesla štatistickú významnosť pre pacientov s AL.

Spoločnosť Prothena preto ukončila svoj program klinického vývoja NEOD001. To znamená, že nebude ďalej skúmaný ani uvedený na trh pre pacientov s amyloidózou.

Čo sa stane s pacientmi, ktorí sa zúčastnili klinickej skúšky s NEOD001?

Správy znamenajú, že nebudú uskutočnené ďalšie klinické štúdie skúmajúce NEOD001 v súvislosti s AL. Všetci pacienti, ktorí dostali tento liek v štúdii fázy III VITAL, prerušia liečbu po diskusii so svojim lekárom.

Ak sa podieľate na klinickom skúšaní s liekom NEOD001, porozprávajte sa so svojím lekárom o akýchkoľvek otázkach týkajúcich sa ďalších krokov alebo obáv, ktoré máte v súvislosti s pozastavením klinického vývojového programu lieku.

Sú iné produkty na liečbu amyloidózy?

Prothena má ďalšie liečivo na liečbu ATTR amyloidózy nazývané PRX004, ktoré je v súčasnosti v predklinických fázach vývoja (laboratórne testovanie).

Pre SMyS: Ing.Milan Petrovič podľa MPE news 25.apríla 2018, mpeurope.org/news/

Odborná konzultácia: MUDr. Eva Králiková