

Die Amaryllis-Studie von Pfizer endet mit Enttäuschung: keine Verbesserung der Huntington-Symptome

Pfizer gibt bekannt, dass die „Amaryllis“-Studie eines PDE-10-Hemmers an der Verbesserung der HK-Symptome scheiterte



Von Professor Ed Wild

17. Dezember 2016

Bearbeitet von Dr Jeff Carroll

Übersetzt von Michaela Grein

Ursprünglich veröffentlicht am 16. Dezember 2016

Pfizer gab bekannt, dass die erste grobe Analyse seiner „Amaryllis“-Studie, die ein PDE-10-Hemmer-Medikament untersucht, zeigt, dass das Medikament sein Ziel der Verbesserung der Huntington-Symptome nicht erfüllt. Als Ergebnis daraus wird die offene Erweiterungsstudie gestoppt. Dies ist nicht die Nachricht, auf die wir gehofft hatten, aber wir haben auf diesem Weg viel über die Huntington-Krankheit gelernt.

Keine Verbesserung der Symptome

In einem Telefonat mit Forschern kündigte das Pharmaunternehmen Pfizer gestern negative Ergebnisse aus der ersten groben Analyse seiner **Amaryllis**-Studie an. Leider zeigte das Studienmedikament keine signifikante Verbesserung bei dem Hauptsymptom, auf das es zielte – der Bewegungsfunktion - oder irgendeinem anderen Symptom, bei dem es geholfen haben könnte – der Denkfähigkeit, den Verhaltensproblemen und den Aktivitäten des täglichen Lebens.



Die Amaryllis ist das Symbol der globalen Huntington-Community. Trotz dieses negativen Studienergebnisses bleiben wir entschlossen, weiter zu kämpfen.

Infolgedessen hat das Unternehmen beschlossen, die noch laufende Open-Label-Erweiterungs-Studie, an der viele Teilnehmer der Amaryllis-Studie mitmachen, zu beenden.

Die Amaryllis-Studie untersuchte das experimentelle Medikament mit dem Codennamen **PF-02545920**, das auf die Signalisierungs-Chemikalien in Hirnzellen reagiert. Man hoffte, dass es die Kommunikation zwischen Neuronen verbessern würde, was eines der Dinge ist, die in Huntington-Gehirnen schief geht. PF-02545920 reduziert die Aktivität einer molekularen Recycling-Maschine namens Phosphodiesterase 10, daher ist es als **PDE10-Hemmer** bekannt.

An der Studie nahmen 271 Menschen mit der Huntington-Krankheit aus fünf Ländern teil. Am Ende der Studie wurden die Teilnehmer eingeladen, an der Open-Label-Erweiterungsstudie teilzunehmen, bei der jeder die aktive Studienmedikation mit der höchsten Dosis erhält, die er tolerieren kann. Die Teilnehmer in dieser Verlängerungsstudie werden nun kontaktiert, um über die negativen Ergebnisse der Studie informiert und aufgeklärt zu werden, wie das Studienmedikament zu reduzieren und zu stoppen ist. **Die Teilnehmer sollten warten, bis sie kontaktiert werden oder sich an den Studienstandort wenden, sollten aber nicht sofort mit dem Medikament aufhören.**

Warum funktionierte es nicht?

Das Prüfen experimenteller Medikamente bei Menschen ist wirklich schwer, vor allem für eine Krankheit, die so schwer zu behandeln ist wie die Huntington-Krankheit. Manchmal entpuppt sich ein Studienmedikament als unsicher, verursacht einen unerwarteten Schaden

für die Patienten. Es ist sehr wichtig zu beachten, dass, soweit wir jetzt wissen, dies bei der Amaryllis-Studie **nicht** der Fall war: Es gab keine größeren Sicherheitsprobleme mit der Studie.

Das andere Risiko ist, dass ein experimentelles Medikament nicht so gut funktionieren könnte wie gehofft. Trotz unserer besten Bemühungen, nur Huntington-Medikamente zu untersuchen, die vielversprechend aussehen, ist das Gehirn eine komplizierte Sache. Ein Gehirn mit Huntington ist extra-kompliziert, weil es sich ständig verändert. So gut die Wissenschaft auch immer ist, die einer Studie vorausgeht, können wir nie exakt vorhersagen, ob ein experimentelles Medikament tatsächlich so funktionieren wird, wie wir es hoffen, wenn es den Patienten gegeben wird.

„Trotz des negativen Ergebnisses haben wir viel über die Huntington-Krankheit und PDE10 gelernt“

Eine negative Studie, keine fehlgeschlagene Studie

Das ist zweifellos eine traurige Nachricht. Wir waren begeistert von dem Medikament und der Studie und Pfizer hatte eine großartige Arbeit geleistet, um mit den Huntington-Wissenschaftlern und -Familien zusammenzuarbeiten, um die Wissenschaft von PDE10 gründlich zu studieren - im Labor, mit Hirnscans und schließlich mit einer gut geplanten und gut ausgeführten Studie.

Marielle Delnomdedieu, die die Amaryllis-Studie für Pfizer leitete, sagte uns: “Wir sind alle sehr enttäuscht, dass das Studienmedikament seinen primären Endpunkt zur Verbesserung der Bewegungen bei der Huntington-Krankheit nicht erreichte, oder irgendeinen der sekundären Endpunkte mit Blick auf andere Merkmale der Krankheit. Trotz des negativen Ergebnisses haben wir viel über die Huntington-Krankheit und PDE10 gelernt. Die Studiendaten werden eine wertvolle Quelle für die Huntington-Forschung sein. Wir freuen uns über die Art und Weise, wie die Studie geplant und durchgeführt wurde, und sind sehr dankbar gegenüber den Patienten und ihren Angehörigen, die an der Studie beteiligt waren.”

Ganz unsere Meinung. Die ganze Arbeit der Forscher und Huntington-Familienmitglieder ist nicht verschwendet worden. Dank Pfizer und seinen Mitarbeitern haben wir jetzt ein viel besseres Verständnis davon, wie die Huntington-Krankheit fortschreitet, und der Rolle des PDE10 Enzyms bei der Krankheit. Wissenschaftler werden weiterhin die Daten durchkämmen, die in der Studie generiert wurden, um zu versuchen, herauszufinden, warum das Medikament die Symptome nicht wie gehofft verbesserte. Andere werden PDE10 weiterhin untersuchen und versuchen, neue Möglichkeiten zur Verbesserung der Kommunikation im Huntington-Gehirn zu finden.

Dr. Wild, der diesen Artikel bearbeitet hat, war ein Forscher der Amaryllis-Studie bei UCL, hat aber weder finanzielles Interesse an Pfizer noch am Ergebnis der Studie. Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...

GLOSSAR

Phosphodiesterase ein Protein, das zyklisches AMP und zyklisches GMP aufbricht

Open-Label Eine Studie bei der der Patient und der Doktor wissen, welches Medikament verwendet wird. Open-Label-Studien sind anfällig für Voreingenommenheit aufgrund des Placebo-Effekts.

PDE10 Ein Hirnprotein das sich gut als Ziel für Medikamente und als Biomarker eignet. PDE10 findet sich fast ausschließlich in den Teilen des Gehirns, wo Hirnzellen durch die Huntington-Krankheit sterben.

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2020. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.

HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe hdbuzz.net

Erstellt am 7. November 2020 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/229>

Manche Textteile auf dieser Seite sind noch nicht übersetzt worden. Der Text wird unten in der Originalsprache angezeigt. Wir arbeiten daran, den gesamten Inhalt so schnell wie möglich zu übersetzen.