

SURVEYOR öffnet die Tür für Medikamente zur Behandlung der Kognition

Sage Therapeutics gab die Ergebnisse der SURVEYOR-Studie bekannt, in der die kognitiven Veränderungen bei Huntington-Patienten untersucht und die kurzfristige Sicherheit von Dalzanemdor getestet wurden. Weitere Studien sind geplant.



Von Dr Leora Fox

12. Juni 2024

Bearbeitet von Dr Sarah Hernandez

Übersetzt von Rebecca

Sage Therapeutics hat am 11. Juni eine Presseerklärung veröffentlicht, die sich auf die wichtigsten Ergebnisse einer Studie namens SURVEYOR konzentriert, deren Ziel es ist, die Kognition (das Denkvermögen) bei der Huntington-Krankheit zu untersuchen und die Sicherheit eines Medikaments namens Dalzanemdor (früher SAGE-718) zu testen. Sprechen wir darüber, was wir wissen und wie es weitergeht!

Verstärkung der Botschaften der Nervenzellen zur Verbesserung des Denkens

Sage Therapeutics arbeitet an der Gesundheit des Gehirns bei einer Vielzahl von Krankheiten. Einer ihrer Schwerpunkte ist die Kognition und die exekutive Funktion - die Fähigkeit, Entscheidungen zu treffen, zu planen und auf neue Informationen zu reagieren. Dieser Forschungsbereich ist für den Bereich der Huntington-Krankheit besonders wichtig, da kognitive Veränderungen für Menschen mit Huntington große Auswirkungen haben.



Dalzanemdor ist so, als würde man den Gehirnzellen ein Megaphon geben. Es erhöht die Lautstärke der molekularen Botschaften, die von den NMDA-Rezeptoren weitergeleitet

werden, die bei Huntington typischerweise reduziert sind und Probleme mit dem Denken und dem Gedächtnis verursachen.

Sage hat an einer experimentellen Therapie namens Dalzanemdor gearbeitet. Das Medikament wirkt auf NMDA-Rezeptoren, die dazu beitragen, chemische Botschaften zwischen Nervenzellen zu übertragen. Bei vielen Krankheiten besteht ein Ungleichgewicht in diesem Botenstoffsystem, was zu Veränderungen im Denken und im Gedächtnis führt. Dalzanemdor ist eine Art von Medikament, das die von den NMDA-Rezeptoren weitergeleiteten Botschaften verstärkt - es ist ein bisschen so, als würde man den Gehirnzellen ein Megafon geben.

Sage hat diesen Ansatz nicht nur bei Huntington, sondern auch bei Krankheiten wie Parkinson und Alzheimer angewandt, bei denen es im Laufe der Zeit ebenfalls zu Veränderungen der Exekutivfunktionen kommt.

Behandlung der kognitiven Symptome von Huntington

Die Entwicklung von Medikamenten zur Behandlung der kognitiven Symptome der Huntington-Krankheit ist mit einigen Herausforderungen verbunden. Da die Huntington-Krankheit traditionell als Bewegungsstörung definiert wurde und auch heute noch offiziell diagnostiziert wird, sobald sich Bewegungssymptome entwickeln, wurden klinische Studien in der Vergangenheit so angelegt, dass sie Veränderungen bei den Bewegungssymptomen zeigen.

In jüngerer Zeit hat sich unser Verständnis von HD durch wichtige Beobachtungsstudien wie PREDICT-HD, TRACK-HD und Enroll-HD weiterentwickelt. Klinische Forscher entwickeln auch neue Instrumente zur besseren Messung subtiler Veränderungen der Denksymptome, und Wissenschaftler entwickeln neue Biomarker, um Veränderungen im Zeitverlauf und Reaktionen auf Medikamente zu verfolgen. Dies hat zu einem Wandel in der Denkweise von informierten Familien, Wissenschaftlern und medizinischen Fachkräften über die Huntington-Krankheit geführt, aber ein systemischer Wandel vollzieht sich langsamer.

Neuere Arten von kognitiven Tests können zeigen, dass sich die kognitiven Veränderungen bei Menschen mit Huntington im Laufe der Zeit messbar vollziehen. Eine Gruppe von Tests, die vor etwa einem Jahrzehnt entwickelt wurde, heißt Huntington's Disease Cognitive Assessment Battery (HD-CAB). Sie umfasst separate Tests zur Problemlösung, zum Abgleich, zur Sprache und zu anderen Aspekten des Denkens und der Exekutivfunktion. Mehr Daten in diesem Bereich werden letztlich dazu beitragen, die Zulassungsbehörden (die für die Genehmigung von Arzneimitteln zuständig sind, z. B. die FDA in den USA und die EMA in Europa) davon zu überzeugen, dass eine neue Behandlung Menschen mit Huntington helfen kann, insbesondere wenn es um frühe Veränderungen im Denken geht.

„Neuere Arten von kognitiven Tests können zeigen, dass sich die kognitiven

Fähigkeiten von Huntington-Patienten im Laufe der Zeit messbar verändern. “

Das PERSPECTIVE-Programm und die SURVEYOR-Studie

Bisher hat Sage eine Reihe von (kleinen) Studien mit Dalzanemdor an gesunden Freiwilligen, Menschen mit Huntington und Menschen mit Parkinson und Alzheimer durchgeführt. Derzeit arbeiten sie an einer Reihe von Studien, die sowohl die kognitiven Veränderungen bei Huntington bestätigen als auch die Sicherheit ihrer experimentellen Therapie, dalzanemdor, testen sollen. Das Gesamtprogramm trägt den Namen PERSPECTIVE. Es umfasst Folgendes:

- Die SURVEYOR-Studie, eine kleine, 28-tägige Studie zur Untersuchung der kognitiven Veränderungen und der Sicherheit.
- Die DIMENSION-Studie, eine größere, dreimonatige Studie, in der die Sicherheit von Dalzanemdor und die Verarbeitung des Arzneimittels im Körper sowie seine möglichen Auswirkungen auf die kognitiven Symptome der Huntington-Krankheit genauer untersucht werden.
- Die PURVIEW-Studie, eine längere Studie, die als Open-Label-Erweiterung bezeichnet wird und bei der alle Teilnehmer das Arzneimittel erhalten. Teilnehmer an den Studien SURVEYOR und DIMENSION, die an einer Huntington-Erkrankung leiden, können sich für die Teilnahme an dieser Studie entscheiden und erhalten weiterhin Dalzanemdor.

Aktuelle Nachrichten aus der SURVEYOR-Studie



SURVEYOR verwendete verschiedene Tests zur objektiven Messung von Denkveränderungen, die bei Menschen mit Huntington auftreten. Daten, die belegen, dass diese kognitiven Veränderungen während der Krankheit auftreten, eröffnen die Möglichkeit, Medikamente zur Verbesserung dieser Symptome zu entwickeln.

Die SURVEYOR-Studie ist der Schwerpunkt der Pressemitteilung vom 11. Juni 2024. Die

Hauptziele der Studie waren die Messung der kognitiven Beeinträchtigung bei Huntington im Vergleich zu gesunden Teilnehmern und die Untersuchung der Sicherheit von Dalzanemdor bei Teilnehmern mit Huntington. Außerdem wollte Sage die Beziehung zwischen Veränderungen des Denkens und der Funktion bei Menschen mit Huntington besser verstehen.

An der Studie nahmen 40 Personen mit HD und 29 Personen ohne HD teil. In einem ersten Schritt absolvierten alle Teilnehmer die kognitiven Tests des HD-CAB und verglichen die Personen mit und ohne HD. Anschließend wurden die Personen mit HD in zwei Gruppen aufgeteilt. Die eine Gruppe nahm 28 Tage lang Dalzanemdor (eine tägliche Pille) ein, die andere ein Placebo (eine Zuckerpille). Vor, während und nach der Einnahme des Medikaments und bis zu einigen Wochen danach absolvierten die Teilnehmer erneut das HD-CAB, unterzogen sich anderen physischen und Sicherheitstests und berichteten über Nebenwirkungen.

Die Pressemitteilung von Sage enthielt einige wichtige Informationen über die Studie:

1. Die HD-CAB-Tests bestätigten kognitive Veränderungen zwischen Menschen mit und ohne Huntington. Dies ist wichtig, weil es dazu beitragen wird, die Studienmetriken über die hinaus zu erweitern, die sich derzeit auf die mit der Huntington-Krankheit verbundenen Bewegungen, wie Chorea, konzentrieren. Objektive Beweise für die Auswirkungen der Huntington-Krankheit auf die kognitiven Veränderungen zeigen, dass diese Metriken in größeren klinischen Studien sinnvoll eingesetzt werden können.
2. Dalzanemdor scheint insgesamt sicher und gut verträglich zu sein. Zwar berichteten einige Teilnehmer über "leichte bis mäßige" Nebenwirkungen des Medikaments, doch verließ niemand die Studie aufgrund dieser Wirkungen. Wir wissen jedoch noch nicht, um welche Wirkungen es sich dabei handelte. Außerdem wurden keine neuen Sicherheitsprobleme gemeldet. Dies ist eine gute Nachricht, wenn man bedenkt, dass Dalzanemdor in mehreren klinischen Studien an viele Menschen verabreicht wurde.
3. Möglicherweise gab es eine leichte Verbesserung der kognitiven Fähigkeiten bei Personen, die Dalzanemdor einnahmen, im Vergleich zu denjenigen, die Placebo erhielten, wie durch einige individuelle Tests im Rahmen des HD-CAB gemessen wurde. Es ist jedoch wichtig zu beachten, dass diese kurze Studie nicht darauf ausgelegt war, dies zu testen, so dass zum jetzigen Zeitpunkt keine Schlussfolgerungen über die Fähigkeit von Dalzanemdor zur Behandlung von Huntington-Symptomen gezogen werden können. Sage wird sich die Daten genauer ansehen, um zu verstehen, was dies bedeutet, aber die vorläufigen Ergebnisse sprechen dafür, mit dem Programm fortzufahren.

„Insgesamt deutet die jüngste Pressemitteilung von Sage über die SURVEYOR-Studie darauf hin, dass Dalzanemdor im Allgemeinen sicher ist. Und, was vielleicht noch wichtiger ist, sie legt nahe, dass wir mit dem HD-CAB eine

robuste Methode zur Messung der kognitiven Fähigkeiten bei der Huntington-Krankheit haben. “

Dalzanemdor wird sich weiter entwickeln

Insgesamt deutet die jüngste Pressemitteilung von Sage über die SURVEYOR-Studie darauf hin, dass Dalzanemdor generell sicher ist. Und, was vielleicht noch wichtiger ist, sie zeigt, dass wir mit dem HD-CAB eine robuste Methode zur Messung der kognitiven Fähigkeiten bei Huntington haben. Diese Ergebnisse werden für die Entwicklung von Medikamenten zur Behandlung kognitiver Probleme bei Huntington von entscheidender Bedeutung sein.

Sage teilte kürzlich auf dem HDSA-Kongress 2024 mit, dass die Rekrutierung für die offene PURVIEW-Erweiterungsstudie läuft. Die DIMENSION-Studie läuft noch, auch wenn sie nicht mehr rekrutiert, aber Sage wird voraussichtlich bis Ende des Jahres Daten zu dieser Studie veröffentlichen. Da diese größere Studie speziell darauf ausgerichtet ist, die Fähigkeit von Dalzanemdor zur Behandlung der kognitiven Fähigkeiten bei Huntington zu testen, sollten wir bis zum Jahr 2025 eine gute Vorstellung davon haben, ob Dalzanemdor bei Huntington wirksam ist. Bleiben Sie dran!

Leora Fox arbeitet bei der Huntington's Disease Society of America, die Beziehungen und Geheimhaltungsvereinbarungen mit einigen pharmazeutischen Unternehmen unterhält, die sich mit der Huntington-Krankheit beschäftigen, darunter Sage Therapeutics. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ ...](#)

GLOSSAR

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.

Biomarker Irgendeine Art von Test - inklusive Bluttest, Gedächtnistest und Gehirnschweifen - der das Fortschreiten einer Krankheit wie der Huntington-Krankheit messen oder vorhersagen kann. Biomarker können klinische Studien von neuen Medikamenten schneller und verlässlicher machen.

Therapie Behandlungen

Placebo Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht wirkt.

Chorea Unwillkürliche, unregelmäßig ausladende Bewegungen, die bei der Huntington-Krankheit häufig auftreten

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2025. 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 24. Februar 2025 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/369>