HDBuzz

Wetenschappelijk nieuws over de Ziekte van Huntington. In eenvoudige taal. Geschreven door wetenschappers. Voor de hele ZvH gemeenschap.

Er is een nieuw artikel gepubliceerd met geactualiseerde gegevens over dit onderwerp: Geen verrassingen in gepubliceerde onderzoeksresultaten HART studie met Huntexil voor ziekte van Huntington

x

FDA: meer studies nodig om Huntexil binnen de ZvH goed te keuren

Slecht nieuws voor Huntexil - het FDA vereist nog een studie voordat het goedgekeurd kan worden in de VS

Geschreven door Dr Jeff Carroll op 20 oktober 2012
Bewerkt door Dr Ed Wild; Vertaald door Kevin van der Leer
Origineel gepubliceerd op 4 april 2011

NeuroSearch, de ontwikkelaar van het experimentele Ziekte van Huntington medicijn Huntexil, heeft verslag gedaan van hun overleg met de Food and Drug Administration. Det FDA vereist dat nog een studie wordt ondernomen voordat Huntexil eventueel goedgekeurd kan worden in de Verenigde Staten.

Wat is Huntexil?

Zoals eerder al besproken op HdBuzz is Huntexil een experimenteel medicijn, dat specifiek gericht is op de bewegingen veroorzaakt door de Ziekte van Huntington. Huntexil wordt gemaakt door het Deense bedrijf NeuroSearch en is ook bekend als pridopidine en ACR16

Welke klinische studies zijn met Huntexil

verricht?

NeuroSearch heeft twee klinische studies gesponsord met ZvH-patiënten. Bij de eerste waren 437 patiënten binnen het European Huntington Disease Network betrokken en werd de ‘MermaiHD’ studie genoemd. De tweede, binnen de Huntington Study Groep in Noord Amerika, werd de ‘HART’ studie genoemd en betrok 227 patiënten.

De MermaiHD studie was helaas niet overtuigend. Ondanks dat er wel wat verbeteringen werden gezien bij de bewegingssymptomen van patiënten waren de bevindingen niet robuust genoeg om de studie een definitief succes te noemen. Iets vergelijkbaars gebeurde bij de HART studie - verbeteringen van de bewegingssymptomen werden gezien, maar niet voldoende om overtuigend te zijn.

NeuroSearch bundelde de resultaten van de MermaiHD en HART studies in wat bekend staat als een ‘meta-analyse’. Dit stelt wetenschappers in staat om naar de resultaten van meerdere studies samen te kijken. Die analyse liet **wel** een duidelijke verbetering zien in de bewegingssymptomen van ZvH-patiënten. Het was echter niet zeker of dit genoeg zou zijn om het medicijn goed te keuren.

In het algemeen staan de regelgevende vertegenwoordigers die medicijnen goedkeuren niet toe dat dit soort ‘meta-analyses’ gebruikt worden als bewijs dat een medicijn effectief is. Normaal gesproken worden de resultaten van één enkele, geplande, studie gepresenteerd en beschouwd als bewijs. Desalniettemin gaat NeuroSearch de resultaten van hun meta-analyse presenteren aan het FDA (Food and Drug Administration) en verdedigen zij de mening dat het voldoende bewijs is dat Huntexil werkt.

Wat is er zojuist gebeurd?

Op 23 maart kondigde NeuroSearch aan dat zij een overleg met het FDA hadden gehad, een zogenaamde “einde van fase 2 overleg”. Op dit overleg vertelde het FDA dat Neurosearch met “additioneel klinisch bewijs” zou moeten komen voordat Huntexil goedgekeurd zou worden in de Verenigde Staten. Dat betekent dat het FDA resultaten van verdere klinische studies vereist voordat Huntexil goedgekeurd kan worden.

En nu?

NeuroSearch heeft ook een beroep gedaan op het European Medicines Agency (EMA) om Huntexil goed te keuren. Zij verwachten rond juni 2011 van het EMA te horen of hun meta-analyse afdoende is om Huntexil binnen Europa goedgekeurd te krijgen.

Met betrekking tot de Verenigde Staten zal NeuroSearch nog een klinische studie moeten uitvoeren om Huntexil goed te laten keuren. Algemeen directeur, Patrik Dahlen, vertelde in een persbericht dat hun plannen voor nieuwe studies “momenteel ontwikkelt worden”. Hun beslissing zal waarschijnlijk afhangen van het feit of Huntexil wel of niet goedgekeurd wordt in Europa.

De auteurs hebben geen belangenconflicten te verklaren. Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangensconflicten, zie FAQ…

Verklarende woordenlijst

meta-analyse Het combineren van de resultaten van verschillende studies en deze samen analyseren, om zo een antwoord te vinden op een bepaalde vraag.

© HDBuzz 2011-2015. De inhoud van HDBuzz mag vrij gedeeld worden met anderen, onder de Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.
HDBuzz is geen bron van medisch advies. Voor meer informatie ga naar hdbuzz.net
Gegenereerd op 2 oktober 2015 — Gedownload van http://nl.hdbuzz.net/025