

SURVEYOR opent de deur voor medicijnen die cognitie behandelen

Sage Therapeutics maakt resultaten bekend van SURVEYOR, een studie die cognitieve veranderingen bij Huntingtonpatiënten onderzocht en de kortetermijnveiligheid van dalzanemdor testte. De studie was klein, maar bereikte belangrijke doelen.



Geschreven door [Dr Leora Fox](#)

25 juli 2024

Bewerkt door [Dr Sarah Hernandez](#)

Vertaald door [Gabrielle Donné-Op den Kelder](#)

Origineel gepubliceerd op 12 juni 2024

Sage Therapeutics bracht op 11 juni 2024 een persbericht naar buiten dat zich richt op de belangrijkste resultaten van een studie genaamd SURVEYOR. Dit onderzoek richt zich op het bestuderen van het denkvermogen (cognitie) bij de ziekte van Huntington en het testen van de veiligheid van een middel genaamd dalzanemdor (voorheen SAGE-718). Wat weten we en wat zijn de volgende stappen?

Versterken van boodschappen tussen zenuwcellen om denken te verbeteren

Sage Therapeutics richt zich op de gezondheid van onze hersenen bij verschillende ziekten. Een van hun aandachtsgebieden is cognitie en de daaraan gekoppelde uitvoerende functies - het vermogen om beslissingen te nemen, plannen te maken en te handelen op basis van nieuwe informatie. Dit onderzoeksgebied is bijzonder relevant voor het Huntingtonveld omdat cognitieve veranderingen een enorme impact hebben op mensen met de ziekte van Huntington.



Dalzanemdor is als het geven van een megafoon aan je hersencellen. Het werkt door het volume van de moleculaire boodschappen, die door NMDA-receptoren worden

doorgegeven, te verhogen. Deze boodschappen zijn bij Huntington doorgaans verminderd en veroorzaken problemen met denken en geheugen.

Sage werkt aan een experimentele therapie genaamd dalzanemdor. Het middel activeert NMDA-receptoren, die betrokken zijn bij het overbrengen van chemische boodschappen tussen zenuwcellen. Bij veel ziekten is dit boodschappersysteem uit balans en veroorzaakt veranderingen in het denkproces en in het geheugen. Dalzanemdor is ontworpen om de overdracht van boodschappen die lopen via NMDA-receptoren te versterken - het is alsof je je hersencellen een megafoon geeft.

Sage heeft deze experimentele therapie toegepast op Huntington, maar ook op ziekten zoals Parkinson en Alzheimer, die in de loop van de tijd ook leiden tot veranderingen in uitvoerende functies.

Het behandelen van de cognitieve symptomen van Huntington

Er zijn enkele uitdagingen bij het ontwikkelen van medicijnen voor de behandeling van de cognitieve symptomen bij de ziekte van Huntington. Aangezien Huntington traditioneel werd gedefinieerd als een bewegingsstoornis en nog steeds officieel pas wordt gediagnosticeerd zodra bewegingssymptomen zich voordoen, zijn klinische studies historisch gezien ontworpen om veranderingen in bewegingssymptomen aan te tonen.

Onze kennis van de ziekte heeft zich in de laatste tijd echter ontwikkeld door belangrijke observationele studies zoals PREDICT-HD, TRACK-HD en Enroll-HD. Klinisch onderzoekers ontwikkelden nieuwe methoden om subtiele veranderingen in denkpatronen beter te kunnen meten; wetenschappers ontwikkelden nieuwe biomarkers om veranderingen in de loop van de tijd en reacties op mogelijke medicijnen te kunnen volgen. Dit heeft geleid tot een verschuiving in hoe betrokken families, wetenschappers en zorgprofessionals denken over Huntington. Echter, ingrijpende veranderingen in de manier waarop een systeem functioneert, verlopen langzaam.

“Nieuwere soorten cognitieve testen kunnen aantonen dat cognitieve veranderingen in de loop van de tijd meetbaar plaatsvinden bij mensen met Huntington.”

Nieuwe cognitieve testen laten zien dat in de loop van de tijd cognitieve veranderingen optreden bij mensen met Huntington. Ongeveer 10 jaar geleden werd de *Huntington's disease cognitive assessment battery* (HD-CAB) ontwikkeld. HD-CAB omvat een aantal afzonderlijke testen rondom probleemoplossing, taal en andere aspecten van denken en uitvoerende functies. Het beschikbaar komen van meer gegevens op dit gebied zal uiteindelijk helpen om regelgevende instanties zoals de FDA in Amerika en de EMA in Europa, ervan te overtuigen dat een nieuwe behandeling een groot verschil kan maken voor mensen met Huntington, vooral als het gaat om vroege veranderingen in het denken.

Het PERSPECTIVE-programma en de SURVEYOR-studie

Sage heeft eerder een aantal (kleine) studies uitgevoerd met dalzanemdor bij gezonde vrijwilligers, bij mensen met Huntington, Parkinson of Alzheimer. Momenteel werkt Sage aan een reeks studies die zijn ontworpen om cognitieve veranderingen bij mensen met Huntington aan te tonen, maar ook om de veiligheid van dalzanemdor te testen. Het overkoepelende programma wordt PERSPECTIVE genoemd. Dit programma omvat het volgende:

- De SURVEYOR-studie, een kleine studie van 28 dagen om naar cognitieve veranderingen en veiligheid te kijken.
- De DIMENSION-studie, een grotere studie van 3 maanden om de veiligheid van dalzanemdor te onderzoeken en hoe het lichaam het middel verwerkt, alsmede om de mogelijke impact ervan op cognitieve symptomen van Huntington nauwkeuriger te bekijken.



SURVEYOR gebruikte verschillende testen om objectief veranderingen in denken te kunnen meten die optreden bij mensen met Huntington. Het hebben van gegevens, die ondersteunen dat deze cognitieve veranderingen tijdens de ziekte plaatsvinden, opent de deur voor het ontwerpen van medicijnen die deze symptomen verbeteren.

- De PURVIEW-studie, een langere studie die bekend staat als een *open-label extension studie*, waarin iedereen die meedoet het middel ontvangt. Deelnemers met Huntington in SURVEYOR en DIMENSION kunnen ervoor kiezen om mee te doen aan deze studie en dalzanemdor te blijven ontvangen.

Recent nieuws uit de SURVEYOR-studie

Het persbericht van 11 juni 2024 richt zich volledig op de SURVEYOR-studie. De belangrijkste doelen van de studie waren het meten van cognitieve beperkingen bij mensen met Huntington vergeleken met gezonde deelnemers, en om de veiligheid van dalzanemdor

bij mensen met Huntington te onderzoeken. Sage wilde ook beter begrijpen hoe veranderingen in denken samenhangen met veranderingen in functioneren bij mensen met Huntington.

Aan de studie deden 40 mensen met Huntington mee en 29 mensen zonder Huntington. De eerste stap was om alle deelnemers de HD-CAB testen te laten doen; de resultaten van mensen met Huntington werden vergeleken met die zonder Huntington. Vervolgens werden degenen met Huntington in twee groepen verdeeld. Een groep nam gedurende 28 dagen dalzanemdor (een dagelijkse pil) in, de andere groep kreeg een placebo (een suikerpil). Voor, tijdens en na de periode waarin het middel of placebo werd ingenomen, voltooiden de deelnemers opnieuw de HD-CAB testen, ondergingen andere fysieke en veiligheidstests en rapporteerden eventuele bijwerkingen.

Het persbericht van Sage deelde een paar belangrijke punten over de studie:

“Over het algemeen suggereert het recente persbericht van Sage over de SURVEYOR-studie dat dalzanemdor over het algemeen veilig is. En misschien nog belangrijker, het suggereert dat we een robuuste manier hebben om cognitie bij Huntington te meten met HD-CAB. ”

1. De HD-CAB testen bevestigden cognitieve verschillen tussen mensen met en zonder Huntington. Dit is belangrijk omdat het zal helpen om metingen tijdens klinische studies verder te verbeteren en zich niet alleen te richten op motorische stoornissen die verband houden met de ziekte van Huntington, zoals de chorea. Objectief bewijs voor de impact die Huntington heeft op cognitieve veranderingen toont aan dat deze metingen op een zinvolle manier kunnen worden gebruikt voor grotere klinische studies.
2. Dalzanemdor lijkt over het algemeen veilig en goed verdragen te worden. Hoewel sommige deelnemers “milde tot matige” bijwerkingen meldden door het middel, stapte niemand uit de studie vanwege die bijwerkingen. We weten echter nog niet wat die bijwerkingen waren. Bovendien werden er geen nieuwe veiligheidsproblemen gemeld. Dit is goed nieuws, aangezien dalzanemdor aan veel mensen is gegeven in verschillende klinische studies.
3. Er was mogelijk sprake van een lichte verbetering in cognitie bij mensen die dalzanemdor gebruikten vergeleken met placebo zoals gemeten in enkele individuele HD-CAB testen. Het is echter belangrijk op te merken dat deze korte studie niet was ontworpen om dit te testen; er kunnen op dit moment dus nog geen conclusies worden getrokken over het vermogen van dalzanemdor om Huntingtontsymptomen te behandelen. Sage zal de gegevens nader bekijken om te begrijpen wat dit betekent, maar de voorlopige resultaten ondersteunen het voortzetten van het programma.

Meer in het vooruitzicht voor dalzanemdor

Over het algemeen suggereert het recente persbericht van Sage over de SURVEYOR-studie dat dalzanemdor over het algemeen veilig is. En misschien nog belangrijker, het suggereert dat we een robuuste manier hebben om cognitie bij Huntington te meten met HD-CAB. Dit is van cruciaal belang voor het ontwikkelen van medicijnen die zijn ontworpen voor de behandeling van cognitieve problemen bij de ziekte van Huntington.

Sage deelde tijdens de HDSA-conventie van 2024 mee dat de werving voor hun PURVIEW *open-label extension* studie gaande is. De DIMENSION-studie loopt nog steeds hoewel er niet meer geworven wordt; Sage verwacht tegen het einde van het jaar gegevens vrij te kunnen geven die met deze studie samenhangen. Aangezien deze grotere studie specifiek is ontworpen om te testen of dalzanemdor effectief is bij cognitieve problemen bij Huntington, zouden we tegen 2025 een goed idee moeten hebben of dalzanemdor dit doel bereikt. Blijf op de hoogte!

Leora Fox werkt bij de Huntington's Disease Society of America, die relaties en geheimhoudingsovereenkomsten heeft met sommige farmaceutische bedrijven die de ziekte van Huntington bestuderen, waaronder Sage Therapeutics. [Voor meer informatie over het beleid rondom mogelijke belangenconflicten, zie FAQ...](#)

GLOSSARIUM

placebo Een namaakmedicijn zonder actieve ingrediënten. Het placebo-effect is een psychologisch effect waardoor mensen zich beter gaan voelen, zelfs als zij een pil innemen die niet werkt.

chorea Onvrijwillige, onregelmatige en 'ongedurige' bewegingen die veel voorkomen bij de ZvH

© HDBuzz 2011-2025. 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 4 maart 2025 — Gedownload van <https://nl.hdbuzz.net/369>