




Badania kliniczne nad lekami na SMA – październik 2016



Kacper Ruciński

Patryk Marczuk

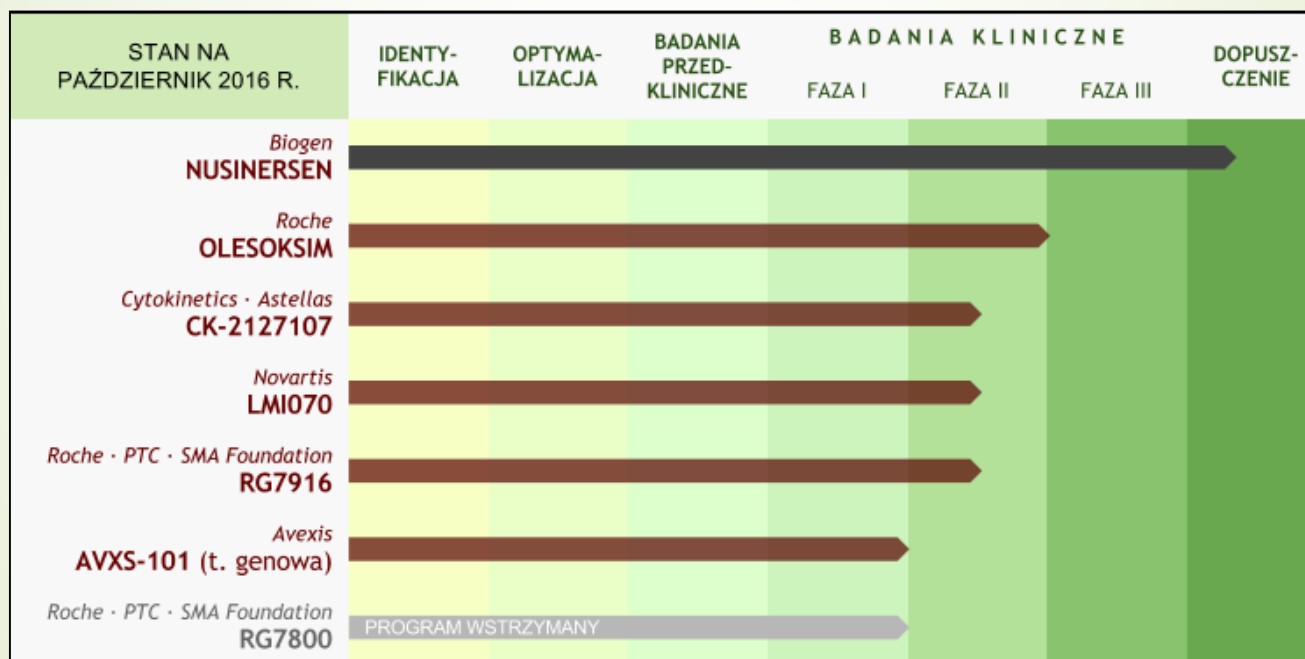
Fundacja SMA



Główne kierunki terapeutyczne wśród badanych leków

- zwiększenie ekspresji genu SMN2 (nusinersen, RG7916, LMI070)
- zastąpienie genu SMN1 (terapia genowa – AVXS101)
- neuroprotekcja (olesoxime)
- zwiększenie siły mięśni (CK-2127107)

Postęp badań klinicznych nad lekami na SMA – październik 2016





- Oligonukleotyd antysensowny (ASO) zwiększający ekspresję genu SMN2
- Złożona aplikacja o dopuszczenie w EU i USA (badania kliniczne zakończone)
- Lek podawany przez zastrzyk dolędźwiowy

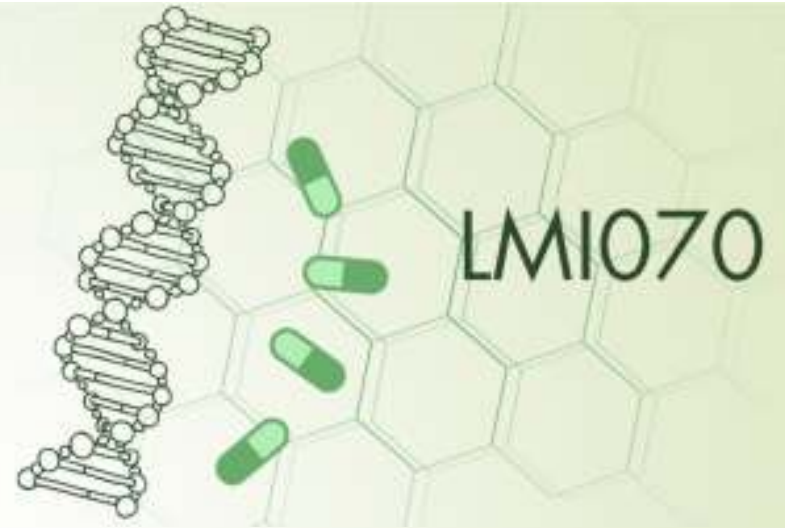


- Lek wykazujący własności ochronne wobec neuronów ruchowych
- Firma Roche przygotowuje badanie kliniczne (powtórzone zgodnie z sugestią EMA) potwierdzające jego skuteczność
- Lek przyjmowany doustnie (zawiesina)



CK-107

- Tzw. Szybki Aktywator Troponiny
- Lek zwiększający siłę mięśni (nie wpływa bezpośrednio na genetyczne uwarunkowanie SMA)
- Trwa badanie na dorosłych (USA)
- Lek podawany ustnie



- Lek wpływa na ekspresję genu SMN2
- Trwające badanie na dzieciach z SMA 1
- Lek podawany doustnie



- Leki wpływają na ekspresję genu SMN2
- Badanie RG7800 zostało wstrzymane
- Aktualnie trwają 2 badania RG7916 (SMA1 oraz SMA 2 i 3)
- Lek przyjmowany doustnie



- Terapia genowa – zastąpienie wadliwego genu SMN1
- Trwające badanie dzieci z SMA 1
- Lek podawany dożylnie (jednorazowo!)



Dziękujemy!

Pytania?