

HDSA - Perguntas e Respostas sobre a última actualização feita pela Ionis e Roche acerca do ensaio clínico de redução dos níveis da huntingtina

Os amigos da @hdsa criaram um óptimo texto de pergunta-resposta sobre as notícias de redução da huntingtina



Escrito por [Dr Leora Fox](#)

03 de Maio de 2018

Editado por [Dr Jeff Carroll](#)

Traduzido por [Filipa Júlio](#)

Publicado originalmente a 26 de Abril de 2018

No início da semana, a “Ionis Pharmaceuticals” fez um comunicado de imprensa depois de apresentar dados sobre o ensaio clínico de redução dos níveis da huntingtina HTTRx (RG6042) numa conferência científica. A Roche, parceira da Ionis, fez igualmente um comunicado à comunidade. A nossa amiga na “Huntington’s Disease Society of America - HDSA”, Dra. Leora Fox, preparou este conjunto de Perguntas e Respostas na sequência das questões da comunidade que foram recebidas após estes comunicados. Gostámos tanto deste documento que decidimos reproduzi-lo aqui, com permissão, para benefício dos leitores do HDBuzz.

O que dizia o comunicado de imprensa?

No geral, reafirmou o que já sabíamos: o fármaco é seguro e reduziu os níveis de huntingtina, a proteína que danifica as células do cérebro na DH. A informação nova, apresentada a 24 de Abril, é que, na globalidade, os participantes com níveis mais reduzidos de huntingtina também apresentaram um desempenho um pouco melhor nos exames clínicos que avaliam os sintomas de DH. Contudo, o estudo só foi desenhado para testar a segurança do fármaco, não a sua eficácia, pelo que ainda é necessário desenvolver um ensaio mais alargado.

Então estão a dizer que o fármaco funcionou?

Não é possível chegar a esta conclusão para já. Tudo o que sabemos é que é seguro e que alcançou o alvo genético para que estava destinado. Os resultados clínicos partilhados pela Ionis são exploratórios - o ensaio só envolveu um total de 46 participantes, o que não é

suficiente para ter a certeza de que o fármaco poderá ajudar nos sintomas. Embora as conclusões gerais sejam muito promissoras, a estatística ainda não demonstrou haver um benefício clínico.

O que vem a seguir? Será que estas informações alteram alguma coisa no futuro?

Não. A Ionis está a passar o testemunho à “Roche Pharmaceuticals”, uma companhia maior que está a investir na comunidade Huntington. Nos Estados Unidos, a companhia chama-se “Genentech”. Foi criada uma equipa internacional experiente para planear e coordenar um ensaio clínico de Fase 3 global. Podem ler aqui a sua mensagem mais recente à comunidade. Enquanto isso, acreditamos que a análise dos dados recolhidos durante a Fase 1 / 2 continue a demonstrar resultados promissores. Estamos também muito entusiasmados por estes resultados estarem a receber imensa atenção em conferências científicas internacionais. Isto terá um impacto positivo nas famílias, já que aumentará a consciencialização acerca da DH entre os profissionais de saúde a nível mundial.

Se é tão promissor, qual é o impedimento?

Garantir que os fármacos são seguros e eficazes é um processo extremamente demorado e altamente regulamentado. A “Roche-Genentech” tem muito trabalho pela frente, incluindo desenhar o ensaio com grande cuidado, identificar as equipas médicas e os centros que irão participar, assegurar que os profissionais estão equipados e treinados para administrar o fármaco, produzir o fármaco, e negociar os financiamentos e as regulamentações com diferentes agências a nível mundial. Tenham a certeza de que há mentes inteligentes e compassivas envolvidas nestes processos, incluindo doentes de Huntington e famílias, todos a trabalhar em conjunto para que este fármaco chegue à clínica o mais rapidamente possível.

Posso inscrever-me para participar no ensaio ou posso pôr o meu nome numa lista?

Infelizmente, não. Os ensaios clínicos fazem normalmente o seu recrutamento através de relações médico-doente preexistentes, em que o médico decide se um doente pode ser elegível e faz a sua referência. Por isso, a HDSA encoraja as pessoas [nos Estados Unidos] a consultarem um especialista em DH num dos Centros de Excelência da HDSA ou noutra unidade clínica com experiência em DH e com uma vertente de investigação, e a participarem no estudo [Enroll-HD](#).

Tem havido uma multidão de pessoas que se tem mostrado pronta para dar este salto e participar neste estudo. O ensaio ainda não está nessa fase, e a HDSA não controla nenhum dos aspectos do seu planeamento, participação ou elegibilidade. Poderá haver falta de vagas para tantos candidatos a participante, o que, compreensivelmente, poderá causar algumas decepções. Não encorajamos as pessoas a fazerem alterações de vida drásticas (tal como mudar de casa) com base no seu desejo de participar num ensaio. Não obstante, estamos muito felizes com o envolvimento da comunidade Huntington e continuaremos a divulgar e a interpretar qualquer nova informação que tenhamos.

Podem existir outras oportunidades de participação em investigações mais perto de si - veja o site [HDTrialfinder](#) para ter mais pormenores sobre isso.

O que é que a HDSA está a fazer para apoiar este ensaio e a comunidade?

A equipa da HDSA está a trabalhar de forma próxima com elementos da equipa “Roche-Genentech”, para garantir que informações actualizadas e apropriadas são partilhadas com a comunidade mal estejam disponíveis. A HDSA é igualmente um dos elementos fundadores da equipa “Huntington’s Disease Coalition for Patient Engagement (HD-COPE)”, que ajuda as equipas da indústria farmacêutica a terem um contacto directo com os doentes e famílias. A equipa “HD-COPE” ajudará companhias como a Roche a garantir que o planeamento do ensaio, as medidas de avaliação e os critérios de participação são razoáveis para os verdadeiros especialistas - as pessoas afectadas pela DH e os seus entes queridos.

Finalmente, continuaremos a divulgar informação acerca de ensaios clínicos e informações acerca dos contactos para participação em estudos de investigação no site “HD Trialfinder”. Como este ensaio ainda não começou, ainda não aparece na lista.

Quando pensam que este fármaco estará disponível?

É muito difícil responder. Os ensaios podem durar vários anos e este, em particular, tem que ser feito com muito cuidado, porque é tão importante e tão diferente de ensaios com fármacos que só se destinam aos sintomas da DH. Adoraríamos conseguir dizer que há um período de tempo definido, mas estamos em território por desbravar e simplesmente não sabemos. O primeiro passo é perceber se o fármaco pode melhorar os sintomas da DH ou atrasar a progressão da doença, e esse será o foco do ensaio de Fase 3.

O que posso fazer agora?

Garantir que está ser acompanhado regularmente por um médico ou por uma equipa com experiência em DH, particularmente um médico ou equipa com interesse em investigação (como nos Centros de Excelência da HDSA ou em Clínicas/Hospitais Universitários). Acompanhe as notícias no HDBuzz, nas actualizações semanais no research blog da HDSA ou nas páginas das redes sociais da HDSA. Veja o site “HD Trialfinder” para se informar sobre oportunidades de investigação. Acima de tudo, trate bem de si e das pessoas que o rodeiam!

Na luta contra a DH, a família é tudo.

Os autores não têm qualquer conflito de interesses a declarar. [Para mais informações sobre a nossa política de divulgação, veja a nossa FAQ...](#)

GLOSSÁRIO

Ensaio clínico Experiências, planeadas com todos os cuidados, que são desenhadas de forma a responder a questões específicas sobre como um fármaco afeta seres humanos.

eficácia Uma medida que avalia se o tratamento funciona ou não

© HDBuzz 2011-2025. Os conteúdos do HDBuzz são de partilha livre, sob uma Licença Creative Commons Atribuição-Compartilhalgal 3.0 Não Adaptada .

O HDBuzz não é um recurso de aconselhamento médico. Para mais informações, visite hdbuzz.net

Criado a 17 de Maio de 2025— Descarregado de <https://pt.hdbuzz.net/258>