

uniQure tem luz verde para continuar a testar terapia genética para a DH

Após uma pausa de 3 meses no recrutamento devido a preocupações com efeitos colaterais, a uniQure partilhou a boa notícia de que o seu ensaio de terapia genética para DH AMT-130 continuará conforme planeado, com novas medidas de segurança em vigor.



Escrito por [Dr Leora Fox](#)

15 de Março de 2023

Editado por [Dr Rachel Harding](#)

Traduzido por [Madalena Esteves](#)

Publicado originalmente a 03 de Novembro de 2022

Em Agosto de 2022, a uniQure anunciou uma pausa no novo recrutamento para o seu ensaio de AMT-130, uma terapia genética para DH administrada por meio de cirurgia cerebral. A decisão foi tomada depois de 3 dos 14 participantes que receberam uma dose alta do medicamento terem experienciado efeitos colaterais graves após o procedimento. O Conselho de Monitorização de Segurança de Dados (DSMB) do estudo, um painel independente de especialistas que rastreia a segurança do medicamento durante o ensaio, têm estado a rever cuidadosamente os dados de segurança desde Agosto. Determinaram recentemente que novas cirurgias de altas doses podem continuar, com alguma monitorização adicional para os participantes. Vamos falar sobre esta notícia e o que ela significa para o AMT-130 daqui para frente.

O que é o AMT-130?

O AMT-130 é a primeira terapia genética projetada para a doença de Huntington. As terapias genéticas usam material genético feito pelo homem para diminuir os danos causados por um gene defeituoso ou ausente. O AMT-130 é uma terapia “one-shot”, o que significa que só precisa ser administrado uma vez e os efeitos são permanentes.



Esta notícia esperançosa da uniQure demonstra que um obstáculo na investigação clínica

nem sempre é o fim do caminho para aquele medicamento ou terapia

Autoria da imagem: [TaraPatta](#)

No caso do AMT-130, as instruções para bloquear a mensagem genética da huntingtina estão dentro de um vírus inofensivo. Esse vírus é entregue a diferentes partes do cérebro por meio de cirurgia com agulhas ultrafinas, de modo que o fármaco se espalhe por todo o cérebro.

O resultado é que muitas células cerebrais produzem menos proteína huntingtina, com o objetivo de retardar a progressão da doença de Huntington. O AMT-130 consegue [reduzir a huntingtina em animais] com sucesso (<https://en.hdbuzz.net/302>), e há um ensaio a decorrer em pessoas.

Um resumo do que sabemos sobre o ensaio

Desde meados de 2020, a uniQure tem estado a desenvolver um ensaio de segurança, conhecido como estudo de Fase I/II, do AMT-130. Este é um ensaio muito pequeno, envolvendo 26 pessoas nos EUA e outras 15 na Europa.

O braço do estudo nos EUA envolve um placebo, o que significa que 10 das pessoas submetidas à cirurgia terão um procedimento “simulado”, no qual não receberão AMT-130. Das 16 que recebem AMT-130, 6 pessoas receberão uma dose baixa e 10 uma dose alta. No braço europeu do estudo, não há placebo e 6 pessoas receberão uma dose baixa e 9 uma dose alta de AMT-130.

Em Junho de 2022, a uniQure [partilhou uma atualização positiva](#) sobre o primeiro ano de dados do grupo de baixa dosagem do estudo dos EUA. A dose baixa de AMT-130 parecia segura com efeitos colaterais limitados, e havia sinais precoces de redução da huntingtina em alguns participantes para os quais havia dados disponíveis.

Então, em Agosto, [chegaram notícias mais difíceis](#): no grupo de alta dose, 3 pessoas tiveram sérios problemas neurológicos após a cirurgia. Por recomendação do Conselho de Monitorização de Segurança de Dados, a uniQure interrompeu novas cirurgias de altas doses. Naquela época, 24 dos 26 participantes planeados para os EUA já haviam sido submetidos a cirurgia e 10 dos 15 na Europa. Anunciaram que uma decisão sobre os próximos passos viria no final do outono, para dar ao DSMB a chance de avaliar os dados mais detalhadamente.

O que aprendemos com a atualização recente

Desde Agosto, o DSMB tem conduzido uma revisão mais completa dos dados. A 2 de Novembro, a uniQure [partilhou um comunicado de imprensa](#), bem como uma declaração dirigida às [famílias DH](#). Primeiro, eles partilharam que os efeitos colaterais graves

desapareceram naqueles três participantes de altas doses. Em segundo lugar, eles informaram a comunidade de que as cirurgias de altas doses restantes continuarão conforme planejado. Os 2 participantes restantes nos EUA já foram incluídos no ensaio e a uniQure espera incluir os 5 participantes europeus finais até ao final do primeiro semestre de 2023.

Por fim, a uniQure partilhou o que o DSMB recomendou para as restantes cirurgias: após o procedimento, os participantes serão monitorizados mais de perto durante 2 semanas, incluindo uma visita presencial no 7º dia após o procedimento. Isto ajudará os médicos do estudo a decidir se prescrevem medicamentos para ajudar a controlar qualquer reação imunológica nas semanas após a cirurgia. Isso é provavelmente o que causou os efeitos colaterais graves, como inchaço, confusão e dores de cabeça.

Seguindo em frente e aguardando mais novidades

A mensagem geral para a comunidade DH é que o estudo da uniQure sobre o AMT-130 prosseguirá conforme planejado. O que isto significa é que a uniQure ainda está encaminhada para anunciar os dados mais recentes do estudo dos EUA no segundo trimestre de 2023. Com mais dados, provavelmente teremos uma noção melhor se o AMT-130 pode ser testado com segurança num ensaio maior para a DH, que testaria a sua eficácia na redução dos sintomas da DH.

A maneira como esta pausa no estudo foi implementada e retirada demonstra a importância da monitorização independente de dados, que é incorporada em todos os ensaios clínicos. Neste caso, a pausa permitiu que o DSMB investigasse mais e recomendasse mudanças que manteriam os participantes mais seguros. Isso é absolutamente fundamental para todos nós que beneficiamos da investigação médica, especialmente para as pessoas corajosas que são as primeiras a receber uma terapia experimental sem precedentes.

Acima de tudo, esta notícia traz esperança renovada e ilustra que um obstáculo na investigação clínica nem sempre é o fim do caminho!

A Dra. Leora Fox trabalha na Huntington's Disease Society of America, que tem relacionamentos e acordos de confidencialidade com empresas farmacêuticas, incluindo a uniQure. A Dra. Rachel Harding não tem conflitos a declarar. [Para mais informações sobre a nossa política de divulgação, veja a nossa FAQ...](#)

proteína huntingtina A proteína produzida pelo gene da DH

terapias tratamentos

eficácia Uma medida que avalia se o tratamento funciona ou não

placebo Um placebo é um medicamento falso, que não contém ingredientes activos. O efeito placebo é um efeito psicológico que faz com que as pessoas se sintam melhor mesmo que estejam a tomar um comprimido que não funciona.

© HDBuzz 2011-2025. Os conteúdos do HDBuzz são de partilha livre, sob uma Licença Creative Commons Atribuição-Compartilha Igual 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/337>