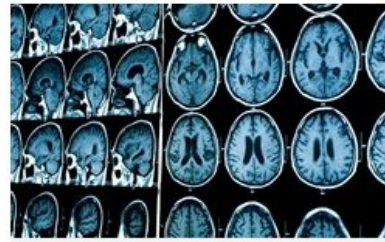


Αποτελέσματα από την μελέτη PARADIGMS

## Φάρμακο βελτιώνει την παιδιατρική πολλαπλή σκλήρυνση

Δημοσίευση: 06 Δεκ 2017, 15:56 | Τελευταία ενημέρωση: 06 Δεκ 2017, 15:56



Η θεραπεία με από του στόματος χορήγηση φινγκολιμόδης συντελεί σε μείωση κατά 82% του ποσοστού υποτροπών σε διάστημα έως και δύο ετών, σε παιδιά και εφήβους (ηλικίας 10 έως 17 ετών) με πολλαπλή σκλήρυνση (ΠΣ), σε σύγκριση με την ενδομυϊκή χορήγηση ιντερφερόνης β-1α, σύμφωνα με τα αποτελέσματα της μελέτης Φάσης III PARADIGMS.

Η φινγκολιμόδη δεν είναι προς το παρόν εγκεκριμένη θεραπεία για την παιδιατρική Πολλαπλή Σκλήρυνση.

Η PARADIGMS είναι η πρώτη στο είδος της ελεγχόμενη, τυχαίοποιημένη κλινική μελέτη που έχει σχεδιαστεί ειδικά για την παιδιατρική Πολλαπλή Σκλήρυνση. Τα αποτελέσματα παρουσιάστηκαν στο 7ο κοινό συνέδριο της Ευρωπαϊκής Επιτροπής για τη Θεραπεία και την Έρευνα της Πολλαπλής Σκλήρυνσης (ECTRIMS) και της Αμερικανικής Επιτροπής για τη Θεραπεία και την Έρευνα της Πολλαπλής Σκλήρυνσης (ACTRIMS), το οποίο διεξήχθη φέτος στο Παρίσι.

Θεραπεία και την Έρευνα της Πολλαπλής Σκλήρυνσης (ACTRIMS), το οποίο διεξήχθη φέτος στο Παρίσι.

Η μελέτη Φάσης III PARADIGMS είναι μία ευέλικτης διάρκειας (έως και δύο έτη), διπλά τυφλή, τυχαίοποιημένη, πολυκεντρική μελέτη για την αξιολόγηση της ασφάλειας και της αποτελεσματικότητας της από του στόματος χορηγούμενης φινγκολιμόδης σε σύγκριση με την ιντερφερόνη β-1α σε παιδιά και εφήβους με επιβεβαιωμένη διάγνωση πολλαπλής σκλήρυνσης (ΠΣ), την οποία θα ακολουθήσει πενταετής φάση παράτασης ανοικτής επισήμανσης.

Στη μελέτη συμμετείχαν 215 παιδιά και εφηβοί με Πολλαπλή Σκλήρυνση, ηλικίας από 10 έως 17 ετών, με βαθμολογία στη Διευρυμένη Κλίμακα Κατάστασης Αναπηρίας (EDSS) από 0 έως 5,5. Οι ασθενείς τυχαίοποιήθηκαν για να λάβουν από του στόματος φινγκολιμόδη άπαξ ημερησίως (0,5 mg ή 0,25 mg, ανάλογα με το σωματικό βάρος των ασθενών) ή ενδομυϊκή χορήγηση ιντερφερόνης β-1α άπαξ εβδομαδιαίως.

Το πρωτεύον καταληκτικό σημείο της μελέτης ήταν η συχνότητα των υποτροπών σε ασθενείς που ακολούθησαν θεραπεία για έως και 24 μήνες (ετησιοποιημένο ποσοστό υποτροπών). Τα δευτερεύοντα καταληκτικά σημεία ήταν ο αριθμός νέων ή προσφάτως αυξημένων σε μέγεθος βλαβών T2, οι προσλαμβάνουσες γαδολίνιο βλάβες T1, η ασφάλεια και οι φαρμακοκινητικές ιδιότητες της φινγκολιμόδης. Όλα μετρήθηκαν κατά τη διάρκεια της περιόδου της θεραπείας.

Η μελέτη Φάσης III PARADIGMS διεξήχθη σε 87 κέντρα σε πάνω από 25 χώρες, και σχεδιάστηκε σε συνεργασία με τον Οργανισμό Τροφίμων και Φαρμάκων των ΗΠΑ, τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων και τη Διεθνή Ομάδα Μελέτης για την Παιδιατρική Πολλαπλή Σκλήρυνση.

Τα δεδομένα από τη μελέτη κατέδειξαν ότι:

- Υπήρξε σημαντική μείωση του αριθμού νέων/προσφάτως αυξημένων σε μέγεθος βλαβών T2 και Gd-T1 στον εγκέφαλο των ασθενών που ακολούθησαν αγωγή με φινγκολιμόδη, σε σύγκριση με όσους έλαβαν ιντερφερόνη β-1α, όπως μετράται με την μαγνητική τομογραφία (MRI). Ο αριθμός και ο όγκος των βλαβών συσχετίζονται με αυξημένες υποτροπές και εξέλιξη της αναπηρίας.
- Τα άτομα που έλαβαν θεραπεία με φινγκολιμόδη είχαν σημαντικά μικρότερη μείωση του εγκεφαλικού όγκου (μετράται από την μαγνητική τομογραφία ως απώλεια εγκεφαλικού όγκου), σε σύγκριση με όσους έλαβαν ιντερφερόνη β-1α. Η μείωση του εγκεφαλικού όγκου στους ενήλικες συσχετίζεται με την απώλεια σωματικής και νοητικής λειτουργίας.
- Το προφίλ ασφάλειας της φινγκολιμόδης είναι συνενπές με εκείνο που παρατηρήθηκε σε προηγούμενες κλινικές μελέτες, με τα περισσότερα ανεπιθύμητα συμβάντα να αναφέρονται στην ομάδα της ιντερφερόνης.
- Σε μια πρόσθετη ανάλυση, η φινγκολιμόδη επιβράδυνε σημαντικά την εξέλιξη της αναπηρίας, η οποία ορίζεται ως εξέλιξη της αναπηρίας με επιβεβαίωση (CDP), σε σύγκριση με την ιντερφερόνη β-1α.

«Οι ασθενείς με παιδιατρική Πολλαπλή Σκλήρυνση εμφανίζουν συχνότερες υποτροπές και έχουν περισσότερες πιθανότητες να παρουσιάσουν σωματική αναπηρία σε νεαρότερη ηλικία σε σχέση με τους ασθενείς που διαγιγνώσκονται ως ενήλικες. Ωστόσο, οι τρέχουσες θεραπείες περιορίζονται σε φάρμακα που δεν έχουν εξεταστεί με ελεγχόμενο τρόπο σε αυτή την ηλικιακή ομάδα. Η PARADIGMS σχεδιάστηκε ειδικά για αυτόν τον πληθυσμό ασθενών. Τα αποτελέσματά της σηματοδοτούν ένα σημαντικό βήμα προς μια νέα πιθανή θεραπεία που θα μπορούσε να βελτιώσει τη ζωή αυτών των νεαρών ασθενών», δήλωσε η Δρ Τανουτζα Τσιτνις, κύρια ερευνήτρια της μελέτης PARADIGMS, διευθύντρια του Κέντρου Παιδιατρικής Πολλαπλής Σκλήρυνσης στο Γενικό Νοσοκομείο της Μασαχουσέτης και ερευνήτρια στο Κέντρο Ann Romney του Νοσοκομείου Brigham and Women's στη Βοστώνη.

health.in.gr