

Parkinsons sjukdom

Personer med Parkinsons sjukdom med så kallad GBA-mutation har ofta ett snabbare och mer aggressivt sjukdomsförlopp än andra Parkinsonpatienter. En fas II-studie ska pröva om en läkemedelskandidat kan bromsa sjukdomen hos patienter med den särskilda mutationen.

FAKTA

Företag:

Sanofi

Ansvarig:

Magdalena Janzén,
temp. Country Team Manager
Sweden, Sanofi



Prövningsfas:

Fas II

Patientgrupp:

Patienter i tidig fas av diagnostiserad Parkinsons sjukdom och med GBA-mutationen (indikationen klassificeras som en "rare disease")

Patienter i prövningen:

8 (planerat antal för Sverige, inklusion pågår),
243 patienter globalt fördelat på 16 länder och
56 kliniker

Studiedesign:

Randomiserad, dubbelblindad, placebokontrollerad

Läkemedelsprövningen inleddes 2016 och arbetet med att inkludera patienter pågår fortfarande. Det första steget i prövningen är att screena nydiagnostiserade patienter med Parkinsons sjukdom för att identifiera de patienter som bär på GBA-mutationen. Prövningen planeras pågå till 2022.

Hos personer med mutationen har Parkinsons sjukdom ofta ett snabbt och mycket aggressivt förlopp med tilltagande motoriska symtom. Syftet med prövningen är att se om prövningsläkemedlet kan bromsa sjukdomsförloppet. Genom screeningen blir patienter också uppmärksammade på att de är bärare av en mutation som innebär att sjukdomen snabbt blir mer allvarlig än normalt vid Parkinsons sjukdom.

– Flertalet av de patienter som screenats var dock sedan tidigare testade för aktuell mutation och deras resultat fanns också registrerade i ett specifikt forskningsregister. Men för vissa patienter innebar resultatet av analysen ett nytt allvarligt besked om att deras sjukdom troligen kommer att ha ett snabbt förlopp, säger Magdalena Janzén, temp. Country Team Manager Sweden, Sanofi.

Sverige var ett av 16 länder som valdes ut globalt för läkemedelsprövningen. Tungt vägande skäl var dels att professor Per Svenningsson vid Karolinska universitetssjukhuset Huddinge är en internationellt erkänd kliniker som också bedriver egen framgångsrik forskning inom Parkinson, dels att det vid Sunderby sjukhus i Norrbotten finns ett större antal patienter som är bärare av mutationen. Tanken var att denna klinik och KS Huddinge i Stockholm skulle utgöra de svenska prövningsklinikerna.

– Samarbetet mellan Karolinska sjukhuset Huddinge och läkaren Radka Pavlova på Sunderby sjukhus har varit viktigt. Per Svenningsson har djup kunskap om diagnosen och behandlar redan ett stort antal av patienterna. Det var mycket tack vare honom som vi kunde få den här prövningen till Sverige, säger Magdalena Janzén.

Det visade sig dock att Sunderby sjukhus saknar viss avancerad utrustning och resurser som studien kräver.

– För att vi inte skulle missa de patienter som var knutna till kliniken i Norrbotten fick lösningen bli att Sunderby sjukhus fick bli ett så kallat satellit-

site till Stockholm. Den initiala mutationsanalysen gjordes i Luleå, och om den visade sig vara positiv remitterades patienten vidare till kliniken i Stockholm för de ytterligare moment som ingick i screeningen. Hälften av de åtta inkluderade patienterna har rekryterats på det här sättet, säger Magdalena Janzén.

Ett flertal undersökningar ingick i screeningens andra del som genomfördes i Stockholm, vilket ställde krav på en hel del logistik. Patienterna behövde bo på patienthotell och i flera fall även ha en medföljare med sig som stöd, eftersom patienten inte fick medicinera de dagar som undersökningarna genomfördes och därför behövde extra hjälp och assistans.

Parallellt med screeningprocessen genomfördes ett omfattande arbete med att certifiera kliniken i Stockholm i de komplexa undersökningar och utvärderingar som prövningens protokoll förutsatte. Det handlade bland annat om MR-certifiering av en så kallad DAT-scan. En specialist från USA togs in för att utbilda personalen på kliniken.

– Samarbetet mellan ansvarig huvudprövare i Stockholm och satellitsiten i Luleå har fungerat utmärkt. Huvudprövaren gör regelbundna besök i Luleå och har träffat flertalet av de rekryterade patienterna innan de kom till KS Huddinge.

Prövningen genomförs inom företaget. På företaget anser man att det sätt som prövningen genomförs i Sverige skulle kunna stå som modell för andra kliniska läkemedelsprövningar, eftersom det blir allt vanligare med prövningar på små patientgrupper med kanske bara en handfull inkluderade patienter.

– Vi behöver sätta mer fokus på var patienterna finns, inte var sjukhusen är geografiskt placerade. Det är en viktig jämlikhetsfråga. Som patient ska man erbjudas möjligheten att screenas för en prövning oavsett var i landet som man bor. Det här konceptet skulle absolut kunna vara applicerbart inom andra indikationer, särskilt modellen att screena geografiskt brett men att inkludera till ett färre antal kliniker. Eftersom det handlar om få patienter är det både en ekonomisk och praktisk fördel att prövningen centraliseras och genomförs på några få kliniker med upparbetad kunskap, säger Magdalena Janzén.

– Det är ibland lätt att förutsätta att patienter är tveksamma till att delta i klinisk forskning om resor är en förutsättning, men den här prövningen visar på det motsatta. När de medicinska behoven är stora är både patienter och närstående beredda att resa och även på andra sätt göra stora uppoffringar för att kunna delta.

