

Společnost NeuroDerm oznámila zveřejnění pozitivních výsledků 3. fáze studie BouNDless, která hodnotí výsledky použití přípravku ND0612 u pacientů s Parkinsonovou chorobou s motorickými fluktuacemi

19.3.2024 - Lisa Vanellová | PROTEXT

Společnost NeuroDerm Ltd., dceřiná společnost plně vlastněná společností Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation (MTPC), dnes oznámila, že časopis The Lancet Neurology zveřejnil výsledky její klíčové studie 3. fáze BouNDless (NCT04006210).

Výsledky studie, která hodnotila účinnost, bezpečnost a snášenlivost zkoumaného přípravku ND0612 – kontinuální, 24 hodin denně aplikované subkutánní (SC) infuze tekuté levodopy/karbidopy (LD/CD) – v porovnání s perorální LD/CD s okamžitým uvolňováním (IR) u pacientů s motorickými fluktuacemi trpících Parkinsonovou chorobou (PD), potvrdily dosažení primárního cílového ukazatele a prvních čtyř sekundárních cílových ukazatelů a prokázaly, že přípravek ND0612 v průběhu 12 týdnů v porovnání s perorálními IR-LD/CD úspěšně dosahuje delší doby „ON“ bez obtěžující dyskineze a zkracuje dobu „OFF“.

"Perorálně podávané tablety levodopy/karbidopy zůstávají v případě Parkinsonovy nemoci stále nejvýznamnějším farmakologickým přípravkem, nicméně s postupem času může spolehlivost jejich pozitivních účinků klesat, což vede k nástupu motorických výkyvů," uvedl profesor Alberto Espay, hlavní americký výzkumný pracovník studie BouNDless a ředitel Centra Jamese J. a Joan A. Gardnerových pro Parkinsonovu chorobu a poruchy hybnosti na Univerzitě v Cincinnati. "Velice nás těší pozitivní výsledky studie, které podle našeho názoru podporují možnost nasazení přípravku ND0612 v případě jeho schválení jako potenciální léčebné alternativy pro lidi s Parkinsonovou chorobou, u nichž dochází ke kolísání úrovně motorických funkcí a kteří dosud měli jen omezené možnosti."

Účastníci studie nejprve podstoupili otevřenou optimalizační fázi podání IR-LD/CD, po níž následovala otevřená optimalizační fáze ND0612 v kombinaci s IR-LD/CD, a poté byli po dobu celkem 12 týdnů ve dvojité zaslepené studii náhodně rozděleni do skupin léčených buď přípravkem ND0612, nebo perorálně podávanými IR-LD/CD. Mezi hlavní zjištění studie patří:

- Léčba přípravkem ND0612 prokázala vyšší účinnost se statisticky významným prodloužením ($p < 0,0001$) doby „ON“ o 1,72 hodiny bez obtěžující dyskineze v porovnání s perorálně podávanými IR-LD/CD, což znamená, že byl splněn primární cílový ukazatel studie.
- Studie rovněž prokázala statisticky významné a klinicky významné výsledky u prvních čtyř sekundárních cílových ukazatelů, včetně klíčového sekundárního cílového ukazatele, kdy se denní „OFF“ doba s přípravkem ND0612 oproti perorálním IR-LD/CD zkrátila o další 1,4 hodiny ($p < 0,0001$).
- Dalšími sekundárními cílovými ukazateli, které dosáhly statistické významné úrovně a klinicky

relevantního zlepšení jak z pohledu pacientů, tak i jejich lékařů, byly hodnoty Movement Disorders Society-Unified Parkinson's Disease Rating Scale (jednotné hodnocení úrovně Parkinsonovy choroby, MDS-UPDRS) Part II (-3,05 [-4,28, -1,81], $p < 0,0001$), Patients Global Impression of Change (celková změna vnímaná pacientem, Odds Ratio [OR]: 5,31 [2,67, 10,58], $p < 0,0001$) a Clinician Global Impression of Improvement (celková změna vnímaná lékařem, OR: 7,23 [3,57, 14,64], $p < 0,0001$).

- Systemický bezpečnostní profil přípravku ND0612 odpovídal zavedeným bezpečnostním profilům perorální standardní léčby přípravky LD/CD. Podle očekávání byly vzhledem ke způsobu kontinuálního subkutánního podávání nejčastěji hlášenými nežádoucími potížemi vzniklými během léčby reakce v místě infuze (57 % u ND0612 oproti 43 % u IR-LD/CD během dvojité zaslepeného období studie). Většina reakcí v místě infuze byla mírné závažnosti. Za zmínku stojí, že ve skupině s přípravkem ND0612 byly ve srovnání se skupinou s přípravky IR-LD/CD méně často hlášeny případy dyskineze, pádů a ON/OFF fenoménů.

- Kromě toho pouze 6 % účastníků studie ve skupině s přípravkem ND0612 studii z libovolného důvodu během dvojité zaslepeného období přerušilo, ve srovnání s 6 % ve skupině užívající perorální IR-LD/CD.

"Motorické výkyvy jsou velice častým příznakem, spojeným s užíváním perorálních LD/CD při léčbě Parkinsonovy nemoci, které často významným způsobem narušují každodenní život pacientů, jak jejich onemocnění postupuje," uvedla Tami Yardeniová, výkonná viceprezidentka klinického vývoje ve společnosti NeuroDerm. "Nyní máme k dispozici přesvědčivé důkazy o příznivém poměru přínosů a rizik přípravku ND0612. Tyto výsledky ukazují výrazné zlepšení motorických výkyvů a také zlepšení běžných situací v každodenním životě u této náročně řešitelné skupiny pacientů."

Analýzy výsledků probíhající studie BouNDless doplňují dlouhodobé bezpečnostní údaje ze studie BeyoND (NCT02726386) včetně údajů o pacientech v osmém roce sledování.¹

O Parkinsonově chorobě

Parkinsonovou chorobou trpí celosvětově více než 10 milionů lidí. Je způsobena snížením dopaminergní signalizace v mozku v důsledku odumírání dopaminergních mozkových buněk. Nejdůležitějším substitučním lékem na Parkinsonovu nemoc je Levodopa, podává se společně s inhibitory degradace levodopy (obvykle s karbidopou). Perorální užívání levodopy způsobuje kolísání plazmatických koncentrací s vysokými vrcholy a nízkými poklesy, které přispívají k postupnému vzniku průběžných klinických oscilací motorických funkcí mnoha lidí s Parkinsonovou chorobou, které jsou pro tyto pacienty velice problematické. Jak onemocnění postupuje, mají úpravy perorální léčby levodopou na zvládnutí těchto motorických komplikací klesající účinek, takže pacienti mají k dispozici jen omezené alternativní možnosti léčby, které jsou vysoce invazivní.

O přípravku ND0612

ND0612 je zkušební kombinovaný léčebný přípravek – kontinuální subkutánní (SC) infuze tekuté levodopy/karbidopy (LD/CD) podávaný 24 hodin denně, určený k léčbě motorických fluktuací u lidí s Parkinsonovou chorobou (PD). Bezpečnost a účinnost přípravku ND0612 při léčbě Parkinsonovy choroby přezkoumává americký Úřad pro kontrolu potravin a léčiv (FDA), který podle zákona o poplatcích za užívání léků na předpis (PDUFA) stanovil cílové datum pro přijetí rozhodnutí na druhé čtvrtletí roku 2024.

O společnosti NeuroDerm, Ltd.

Společnost NeuroDerm, Ltd. je dceřinou společností společnosti Mitsubishi Tanabe Pharma

Corporation (MTPC) se sídlem v Izraeli, která usiluje o snížení problémů způsobených onemocněním a o zlepšení kvality života pacientů a jejich rodin prostřednictvím inovativních kombinovaných terapií a technologií. NeuroDerm je integrovaná farmaceutická a zdravotnická technologická společnost vyvíjející produkty zaměřené na onemocnění centrálního nervového systému (CNS), které mají řešit hlavní nedostatky současné léčby. Další informace naleznete na webových stránkách společnosti NeuroDerm na adrese www.neuroderm.com nebo sledujte náš účet na síti LinkedIn.

O společnosti Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation

Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation (MTPC), farmaceutická divize skupiny Mitsubishi Chemical Group (MCG), je jednou z nejstarších farmaceutických společností na světě, která byla založena v roce 1678 a zaměřuje se na etické léky. Společnost MTPC sídlí ve městě Došomači v Ósace, kolébce celého japonského farmaceutického průmyslu. Společnost MCG se v souladu se svým heslem "Forging the future" (Utváříme budoucnost) zaměřila na zdravotní péči jako na svůj strategický cíl. MTPC si klade za cíl "poskytovat naději všem, kteří čelí onemocněním". Společnost MTPC působí v oblastech onemocnění centrálního nervového systému, imunitních zánětů, diabetu a ledvin, a rakoviny. Zaměřuje se na oblast precizní medicíny a snaží se poskytovat léky s vysokou úrovní spokojenosti s léčbou identifikováním skupin pacientů s vysokým potenciálem pro účinnou a bezpečnou léčbu. Kromě toho se věnuje vývoji řešení podle principu "around the pill", tedy v kombinaci s digitálními technologiemi, zaměřeným na specifické problémy pacientů na základě terapeutické medicíny, včetně prevence nemocí, péče o onemocnění před příznaky, prevence zhoršení a prognózy. Další informace najdete na stránkách <https://www.mt-pharma.co.jp/e/>.

O společnosti Mitsubishi Tanabe Pharma America, Inc.

Společnost Mitsubishi Tanabe Pharma America, Inc. (MTPA) se sídlem v Jersey City v New Jersey je dceřinou společností společnosti Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation (MTPC), která je 100% vlastněna americkou holdingovou společností Mitsubishi Tanabe Pharma Holdings America, Inc. Společnost MTPC ji založila za účelem komercializace schválených farmaceutických výrobků v Severní Americe. Další informace naleznete na stránkách www.mt-pharma-america.com nebo nás můžete sledovat na Twitteru, Facebooku či síti LinkedIn.

¹S Isaacson, et al. Long-term safety of continuous levodopa/carbidopa infusion with ND0612: Results from the ongoing BeyoND study. Poster byl prezentován na výročním setkání Americké neurologické akademie dne 7. dubna 2022 v Seattle ve Washingtonu.

Logo – https://mma.prnewswire.com/media/2364161/NeuroDerm_Ltd_Logo.jpg

<https://www.ceskenoviny.cz/tiskove/zpravy/spolecnost-neuroderm-oznamila-zverejneni-pozitivnich-vysledku-3-faze-studie-boundless-ktera-hodnoti-vysledky-pouziti-pripravku-nd0612-u-pacientu-s-parkinsonovou-chorobou-s-motorickymi-fluktuacemi/2494548>