

המטרה העיקרית של המחקר הייתה לבדוק עד כמה חוקן אליקפורסן טוב להחלמה של האזור המודלק במעי המכונה 'פאויץ' (כיס), ועד כמה הוא טוב בהפחתת מספר הביקורים של המטופל בשירותים (תדירות מתן צואה). מטופלים הוקצו באקראי לקבלת חוקן אליקפורסן או חוקן פלסבו במשך תקופת טיפול בת 6 שבועות ואז השלימו תקופת מעקב בת 20 שבועות.

במהלך השלב כפול-הסמיות של המחקר, כל מטופל ביצע בעצמו חוקן של 240 מ"ג אליקפורסן/חוקן פלסבו פעם ביום למשך 42 ימים (6 שבועות). המטופלים מילאו שאלוני בריאות, ודגימות דם נאספו כדי לבדוק ריכוזי אליקפורסן.

המטופלים קיבלו שיחת טלפון בשבוע 1 כדי לסקור עמידה בנהלים ובטיחות. המטופלים שבו למרכז המחקר בשבועות 3, 6 ו-10 לסקירה של תרופות, הערכה של תסמינים קליניים של פאוצ'יטיס ומצב בריאותי, תיעוד של אירועים חריגים כלשהם, וסיום הערכות בטיחות הנדרשות בפרוטוקול. נוסף על כך, אינדקס פעילות מחלת פאוצ'יטיס (Pouchitis Disease Activity Index) הוערך בביקורים אלו.

ביקורי מעקב נקבעו בשבועות 18 ו-26. לאחר שבוע 26, למטופלים הייתה את האפשרות לקבל גישה לחוקן אליקפורסן בתווית גלויה (למעט מטופלים בצרפת, שלגביהם רשות התקינה הלאומית סירבה לחלק זה במחקר). 65 מתוך 138 מטופלים בחרו באפשרות הזו.

שוב, כל מטופל ביצע בעצמו חוקן של 240 מ"ג אליקפורסן פעם ביום למשך 42 ימים (6 שבועות).

הערכות בטיחות ויעילות נרשמו על ידי רופאי המחקר עבור המחקר.

מדוע נערך מחקר זה?

מחקר זה נערך כדי לעזור למטופלים עם פאוצ'יטיס. פאוצ'יטיס היא מחלה שגורמת לכאב ואי-נוחות (דלקת) בפאויץ' (כיס).

מטופל עם פאויץ' עבר ניתוח שבו כל המעי הגס הוסר ואז נעשה שימוש בחתיכה מהמעי הדק כדי ליצור מעי חלופי (ניתוח הפאויץ' האילאואנאלי – IPAA).

פאוצ'יטיס היא מחלה שמופיעה במגוון צורות. חלק מהמטופלים סובלים ממחלה פעילה ומתמשכת, ואילו לאחרים יש התקפים לא תדירים של מחלה פעילה.

חלק מהמטופלים מגיבים לאנטיביוטיקה, חלק מגיבים לתרופות אחרות, וחלק אינם מגיבים לשום דבר. כיום, לא קיימת תרופה ספציפית שמאפשרת לטיפול בפאוצ'יטיס.

אילו מטופלים נכללו במחקר זה?

מחקר זה כלל 138 גברים ונשים בוגרים שעברו ניתוח במעיים (IPAA) ויש להם עבר של פאוצ'יטיס עם מחלה פעילה.

מתוך 138 המטופלים, היו 58 נשים ו-80 גברים, כולם בטווח גילים של 19 עד 70. כדי להתחיל את המחקר, המטופלים היו צריכים להיות חולים בפאוצ'יטיס פעיל המבוסס על הערכות קליניות דוגמת דלקת באבחון אנדוסקופי ותסמיני מעי שדווחו על ידי המטופל.

נוסף על כך, המטופלים היו צריכים להפסיק ליטול כל אנטיביוטיקה שהיא שבועיים לפני תחילת המחקר.

מה היו תוצאות המחקר?

המחקר לא עמד ביעדים העיקריים שלו:

1. לא ניכרו שיפורים בעלי מובהקות סטטיסטית בהחלמה אנדוסקופית, או בתסמינים הקליניים או בסמני איכות החיים הקשורים בבריאות בקרב מטופלים עם פאוצ'יטיס פעילה ועמידה בפני אנטיביוטיקה, לאחר טיפול באמצעות חוקן אליקפורסן פעם ביום למשך 6 שבועות בהשוואה לחוקן פלסבו. *החוקרים לא ציפו לתוצאה זו.*
2. מאידך, נצפתה מגמה קלה לטובת אליקפורסן בשיפור תדירות מתן הצואה של המטופל.
3. הריכוזים של אליקפורסן בדם (פרמקוקינטיקה) ביום 1 (תחילת הניסוי) ויום 42 (שבוע 6) העידו שהחשיפה הכוללת של הגוף לאליקפורסן היא מינימלית כאשר התרופה ניטלת כחוקן. *תוצאה זו הייתה צפויה, שכן ידוע כי לאליקפורסן יש ספיגה נמוכה בגוף כאשר הוא ניטל כחוקן.*
4. הטיפול באמצעות חוקן אליקפורסן למשך 6 שבועות נסבל היטב באופן כללי; רוב האירועים החריגים היו קלים עד בינוניים בחומרתם ולא רציניים, ונחשבו על ידי החוקר כבלתי קשורים לתרופת המחקר.
5. במהלך כל המחקר התרחשו 8 אירועים חריגים רציניים. אף אירוע לא נמצא כקשור לתרופה.
6. כל האירועים החריגים, כולל המעט שהיו רציניים טופלו במהרה ללא תסמינים מתמשכים כלשהם.
7. מספר התוצאות החריגות בבדיקות מעבדה והשינויים בעלי משמעות קלינית במדדים החיוניים היה נמוך. *ארבע תוצאות בטיחות אלו היו צפויות, שכן ידוע כי אליקפורסן היא תרופה בטוחה יחסית לשימוש.*

אילו תופעות לוואי היו למטופלים?

יותר מ-10% מהמטופלים בקבוצת הפלסבו חוו כאבי בטן.

- יותר מ-5%, אך פחות מ-10% מהמטופלים בקבוצת הפלסבו חוו:
- אי-נוחות אנורקטלית (אי-נוחות באזור הסמוך לפי הטבעת)
 - החמרה של הפאוצ'יטיס
 - שלשול (צואה נוזלית)
- יותר מ-5% אבל פחות מ-10% מהמטופלים בקבוצת האליקפורסן חוו:
- דלקת האף והלוע (הצטננות)
 - החמרה של הפאוצ'יטיס

אירועים חריגים אחרים נחו על ידי פחות מ-5% מהמטופלים בכל אחת מהקבוצות.

מה קורה עכשיו?

Atlantic Pharmaceuticals Ltd קיבלה ייעוץ מקיף מבעלי מקצוע מובילים בתחום הרפואה והתקינה ומידע המחקר האנדוסקופי עבר לאחרונה ניתוח מחודש באמצעות שיטות מדעיות חדשות. הודגמו מספר תוצאות חיוביות מכך, ואנו מתכננים לקיים דיונים עם רשויות התקינה כדי לדון במסלול לאישור תקינה עבור שימוש באליקפורסן עבור פאוצ'יטיס.

אם יש לך שאלות כלשהן, פנה בבקשה אל הרופא או צוות המחקר באתר המחקר שלך. סיכום של התוצאות המדעיות יפורסם כמו כן באתרי האינטרנט של רשויות התקינה www.clinicaltrials.gov ו- www.ema.europa.eu