

Fyrsta lyfið við Alzheimer sjúkdómi í 20 ár samþykkt vorið 2021

Þann 7. Júní í ár var lyfið Aduhelm[®] (aducanumab) samþykkt af lyfjafyrirvöldum Bandaríkjanna (FDA) til notkunar við Alzheimer sjúkdómi þar í landi. Samþykkt lyfsins kom á óvart því sérfræðinganefnd á vegum stofnunarinnar hafði mælt gegn leyfisveitingu sökum þess að ekki hefur verið sýnt fram á að lyfið hafi tilætluð áhrif á minni eða aðra vitræna getu. Rökin fyrir markaðsleyfi voru tvö. Hin fyrri að lyfið hreinsar amyloid útfellingar úr heila og virðist þannig hafa áhrif á grundvallar mein í sjúkdómnum. Þetta er vel staðfest og óumdeilt. Síðari rökin voru þau að samþykkt á notkun lyfsins myndi leiða til aukins áhuga á rannsóknum á lyfjum við þessum sjúkdómi. Bent var á að hann væri sá eini af tíu helstu dánarvöldum í heiminum þar sem ekki er til áhrifarík forvörn, meðferð eða lækning. Gagnrýnendur benda hins vegar á að komi síðar í ljós að lyfið hafi ekki áhrif muni samþykktin hafa leitt til töluverðs skaða, einkum andlegs og fjárhagslegs.

Ýmislegt bendir þó til að lyfið geti gagnast ef það er rétt notað því þegar fyrri rannsóknir eru skoðaðar virðist ljóst að margir þátttakendur hafi verið komnir of langt í sjúkdómnum til að lyf af þessu tagi gæti haft áhrif og að skammtar hafi almennt verið full litlir til að koma að gagni. Þetta verða þó framhaldsrannsóknir að leiða í ljós.

Hver er staðan í dag?

Lyfið er eingöngu á skrá í Bandaríkjunum og er mælt með að lyfið sé gefið einstaklingum með tiltölulega lítil einkenni (væga vitræna skerðingu eða væga heilabilun) og að fyrir liggja að amyloid útfellingar séu í heilanum.

Nokkrar greinar hafa verið birtar þar sem ferlinu fram að leyfisveitingu er lýst og rætt hvað sé framundan [1,2]. Höfundar eru almennt gagnrýnir á þessa ákvörðun en þeir sem að leyfisveitingunni stóðu hafa varið hana. Umtalsvert markaðsátak fór af stað sem hefur einnig náð til Evrópu þó lyfið hafi ekki fengið markaðsleyfi þar. Þrýst er á að gefnar séu undanþágur fyrir notkun þess en á fundi lækna frá minnismóttökum á Norðurlöndunum í þessum mánuði (október 2021) var það sameiginlegt mat að óábyrgt sé að gefa lyfið þegar ekki liggur fyrir staðfesting á gagnsemi þess. Auk þess er meðferðin frekar flókin. Lyfið þarf að gefa í æð á fjögurra vikna fresti og verður það aðeins gert á vissum stöðum. Fylgjast þarf með hugsanlegum breytingum í heila með segulómun á nokkurra mánaða fresti og að endingu er lyfið sjálft mjög dýrt. Leyfið var skilyrt og þarf framleiðandinn að sýna fram á með nýrri rannsókn að það hafi áhrif en hann hefur til þess mörg ár. Nú er verið að skipuleggja fimm ára rannsókn með 6000 þátttakendum í þessu skyni en niðurstöður verða ekki ljósar fyrr en á síðari hluta þessa áratugs. Rannsóknin verður opin, þ.e. allir fá lyfið og engin lyfleysa er notuð. Fleiri rannsóknir verða gerðar og m.a. verður kannað hvort einfaldari gjöf en í æð geti haft sömu áhrif.

Á þessum vettvangi verður sagt frá fréttum af þessu lyfi og öðrum eftir því sem þær berast en aukinn kraftur virðist vera að færast í rannsóknir á nýjum lyfjum gegn sjúkdómnum. Á minnismóttökunni á Landakoti munu fara fram rannsóknir af þessu tagi og verður gerð grein fyrir þeim á þessum vettvangi síðar.

Heimildir

[1] Alexander o.fl. Revisiting FDA approval of aducanumab. *New England J. of Medicine* 2021;385(9):769-771.

[2] Rabinovici. Controversy and progress in Alzheimer's disease-FDA approval of aducanumab. *New England J. of Medicine* 2021;385(9):771-772.