

Blödarsjuka

Hos personer med blödarsjuka som behandlas livslångt med faktor VIII-produkter finns en risk att kroppen utvecklar antikroppar, vilket leder till att behandlingen inte längre har effekt. En studie ska undersöka om en längre tids intensiv behandling med höga doser av ett faktor VIII-läkemedel kan leda till att antikropparna försvinner.

FAKTA

Företag:

Sobi

Ansvarig:

Karin Grünbaum,
Clinical Program Leader, Sobi



Prövningsfas:

Fas IV

Patienter i prövningen:

16 globalt (multicenterstudie)

Patientgrupp:

Patienter med hemofili typ A (blödarsjuka) med brist på koagulationsfaktor 8 (FVIII)

Studiedesign:

Öppen enarmad interventionsstudie

Hemofili typ A och typ B (blödarsjuka) tillhör gruppen sällsynta sjukdomar och som varje år drabbar cirka 10 av 100 000 personer i världen. Det är en ärftlig sjukdom kopplat till en mutation i X-kromosomen och där typ A är fem gånger vanligare än typ B. Patienter med hemofili A saknar, eller har kraftigt reducerade nivåer av, koagulationsfaktor VIII, ett protein som är nödvändigt för att blodet ska kunna levrans och stoppa blödning. I Sverige finns cirka 900 personer med sjukdomen som vanligtvis upptäcks och diagnostiseras redan i unga år och bland huvudsakligen unga pojkar och män. Sjukdomen är kronisk och kräver en livslång behandling, med intravenöst faktor VIII-koncentrat.

En av biverkningarna hos patienter som behandlas med FVIII-produkter är att kroppen kan utveckla antikroppar (inhibitorer) mot FVIII, vilket medför att behandlingen inte längre har någon effekt. Genom att genomföra en så kallad ITI-behandling (Immune Tolerance Induction) med mycket höga doser av faktor VIII-koncentrat under lång tid, kan antikropparna elimineras. Därefter kan patienten sedan återgå till en normal dosering av faktor VIII.

Studie med godkänt läkemedel

En ITI-behandling kan pågå under flera år. Men det är inte alltid som man lyckas få bort antikropparna. I den nya studien undersöker Sobi om ITI-behandling med ett redan godkänt faktor VIII-läkemedel har bättre effekt mot antikropparna. Höga doser ges under högst 60 veckor, eller till dess att en effekt kan konstateras. Därefter går patienterna över till normal dosering och följs upp i 50 veckor inom ramen för studien. Effekten från behandlingen utvärderas utifrån om antikropparna elimineras.

– För den här prövningen sökte vi efter patienter som tidigare behandlats men med utebliven effekt, det vill säga att antikropparna inte eliminerades under tidigare ITI-behandling. Vi diskuterade med drygt 120 kliniker i Europa och Nordamerika för att få reda på om och var dessa patienter fanns tillgängliga, säger Karin Grünbaum, Clinical Program Leader på Sobi.

Den processen slutade med att 16 patienter vid kliniker i nio länder togs med i studien. I Sverige inkluderades en patient. Även om ett globalt

CRO-företag anlitas för att genomföra studien skötte Sobi inkluderingsprocessen själva.

– Det var viktigt för oss att själva äga den delen av processen eftersom vi har etablerade och väl fungerande nätverk med professionen. Själva prövningen sköts av CRO-företaget, men Sobi har samtidigt en kontinuerlig nära dialog med medverkande prövare och forskningssjuksköterskor, säger Karin Grünbaum.

Kliniker har lång erfarenhet

Eftersom antalet blödarsjuka är ganska få i Sverige är det en stor fördel att vården är centraliserad till ett fåtal kliniker, vilket inte är fallet inom många andra sällsynta sjukdomar. Dessa kliniker har lång erfarenhet och stor vana av att delta i företagsinitierade kliniska läkemedelsprövningar.

– Klinikerna är riggade både infrastrukturellt, resurs- och kompetensmässigt för att medverka i klinisk forskning. Även patienter diagnostiserade med hemofili har generellt stor vana av att delta i läkemedelsprövningar. De flesta patienter har någon gång ingått i en läkemedelsprövning. Detta är nog unikt för en patientpopulation i Sverige, och ett kvalitetsmått för de behandlande klinikerna som

verkligen är värt att lyftas och synliggöras, säger Karin Grünbaum.

Ett oväntat problem under prövningen var platsbrist i kylar vid deltagande kliniker. Faktor VIII-läkemedlet måste hållas kylt i en viss temperatur, och de höga doserna under studietiden innebar att en stor mängd läkemedel behövde administreras för varje patient. Lösningen fick bli att Sobi fick tillhandahålla extra kylskåp för prövningen. Här i Sverige var problemet också att prövningsläkemedel inte får skickas direkt till klinik, utan måste enligt lag distribueras via sjukhusapotek. Det innebär extra arbete och administration för alla parter.

– Sverige sticker ut gentemot andra länder med kravet att prövningsläkemedel måste distribueras via apotek. Nu ligger ett utredningsförslag på regeringens bord om en lagändring så att vi läkemedelsföretag kan leverera prövningsläkemedel direkt till kliniker och prövare. Den lagändringen behövs för att underlätta hanteringen vid kliniska läkemedelsprövningar, säger Karin Grünbaum.

Sobi planerar för att kunna presentera resultat från prövningen under 2021. Eftersom antalet patienter i studien är så få, och det inte finns någon jämförande arm, kommer resultaten i redovisas i beskrivande form.

