

# Möjligt paradigmskifte vid ALS-behandling

Hittills har den neurologiska sjukdomen ALS varit obotlig. Men de senaste årens intensiva forskning börjar ge resultat. Ett lovande läkemedel som visat sig kunna förbättra förlorade funktioner och bromsa sjukdomsutvecklingen är ILB. Kliniska studier både vid på Sahlgrenska Universitetssjukhuset i Göteborg och vid Queen Elizabeth Hospital, Birmingham i Storbritannien inger hopp.

**A**LS är en av de mest svårbehandlade neurologiska sjukdomar vi har. Sjukdomen påverkar kommunikationen mellan nerver och muskler och leder till allmän muskelsvaghet och slutligen förlamning och död. Även om det finns fall där patienter levt i många årtionden med sitt tillstånd, så avlider de allra flesta inom 3-5 år efter att de diagnostiserats. Men nu finns ett läkemedel, som i mindre studier på Sahlgrenska Universitetssjukhuset och vid Queen Elizabeth Hospital, Birmingham i Storbritannien, visat sig kunna förbättra prognosen.

Trots att det rör sig om mycket små studier med kort uppföljningstid så visade de kliniskt funktionella och biokemiska tester som utfördes på studiedeltagarna snabba förbättringar både av motoriska funktioner och neurometabolism, det vill säga, de genetiska störningar i cellens ämnesomsättning som drabbat nervsystemet. Även sjukdomsprogressionen stannade av. Läkemedlet var även säkert att använda och hade få och endast milda biverkningar.

– Inget annat ALS-läkemedel har visat sig ha liknande sjukdomsmodifierande effekter, säger Ann Logan, hedersprofessor i regenerativ medicin vid University of Warwick och en av forskarna bakom studierna.

Läkemedlet ILB, ett dextransulfat med låg molekylvikt (LMW-DS) har tagits fram av det svenska biofarmaceutiska företaget TikoMed, och enligt Ann Logan tillhör det nästa generations regenerativa läkemedel som kan skydda och reparera sjuka och skadade nerv- och muskelvävnader.

Omfattande vetenskapligt granskade och publicera-

de prekliniska och kliniska studier har visat att läkemedlets verkningsmekanism har potential att kunna behandla ALS, men även andra degenerativa tillstånd.

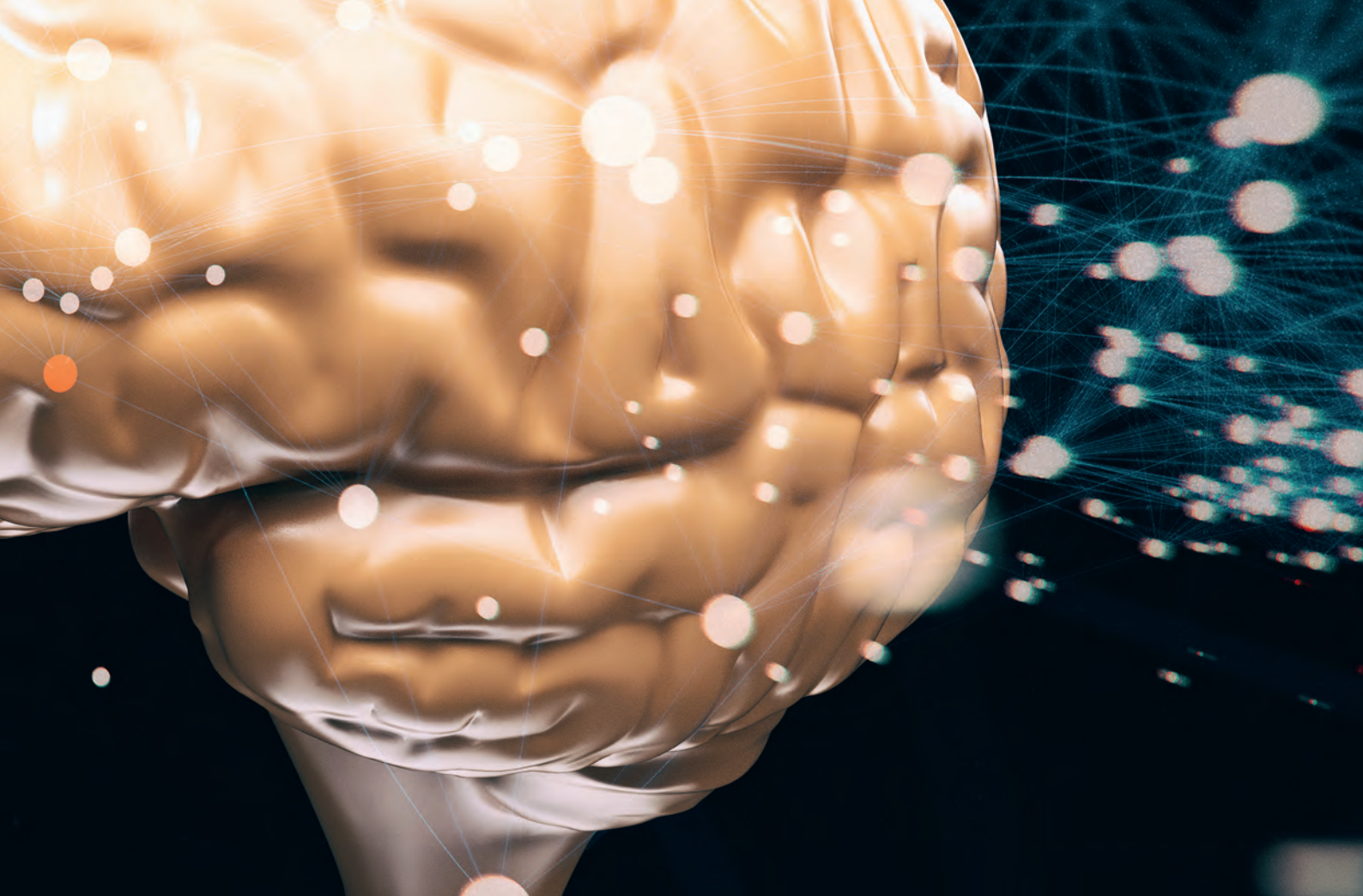
– Det här innebär att det har öppnats möjligheter att utveckla en helt ny klass av neuroregenerativa läkemedel. Det vi ser kan vara ett paradigmskifte vid behandlingen av ALS, fortsätter Ann Logan.

## Efterliknar skyddet hos foster

ILB fungerar genom att frigöra kroppens egna naturliga reparationssignaler, så kallade tillväxtfaktorer. Det är samma mekanism som styr tillväxt och reparation av skadade vävnader hos foster och nyfödda barn. Den här processen utgör ett naturligt skydd under fosterutvecklingen och barnets första tid. När våra kroppar mognar försvinner den här processen. Tillväxtsignalerna finns dock kvar, men nu i en inaktiv form, inlåsta som i ett förråd, där de lagras i blodkärlens väggar. ILB låser upp förråden och stimulerar tillväxtsignalerna så att de kommer ut i blodomloppet och kan nå de sjuka och skadade vävnaderna. Här försöker de sedan återställa funktionen och skydda vävnaderna från ytterligare skador.

## Öppen klinisk fas II-studie

I en första enarmad, öppen, klinisk fas II-studie vid Sahlgrenska Universitetssjukhuset i Göteborg har läkemedlets säkerhet och tolerans hos ALS-patienter undersökts. Även effekten av behandlingen har utvärderats. I studien, som endast pågick under 29 dagar, deltog 13 ALS-patienter med medelsvåra symtom. Patienterna var av bägge kön, och hade antingen den ärftliga formen av ALS eller den sporadiska formen som uppstår av



## Nytt samarbetet

TikoMed och The Division of Clinical Neuroscience vid Oslo universitetssjukhus har nyligen undertecknat ett forskningssamarbetsavtal inom ALS. Samarbetet syftar till att lära sig mer om sjukdomen och att utveckla bättre behandlingsalternativ för patienter med ALS.

okänd anledning. Varje vecka erhöll patienterna en injektion med en dos IBL på 1 mg per kilo kroppsvikt. Vid studiestarten fick patienterna fylla i ett frågeformulär där de skulle beskriva hur till exempel tal, rörlighet och andning fungerade, vilken hjälp med matning och påklädning de behövde, samt hur de upplevde sitt välbefinnande, inklusive det känslomässiga välbefinnandet.

Läkare skattade under studieperioden hur sjukdomen framskred och vilka effekter behandlingen visade utifrån en väletablerad poängskala där graden av funktionsnedsättning bedömdes. Dessutom mättes bland annat biomarkörer och frisättningen av tillväxtfaktorn HGF i blodet. Trots den korta studieperioden såg man tydliga förbättringar av motorik och muskelstyrka liksom biokemiska processer i blodet hos patienterna, något som var förknippat med frisättningen av HGF i blodet.

### Dubblerad dos

Den senare studien som genomfördes på Queen Elizabeth Hospital var även den en enarmad, öppen,

klinisk fas II-studie där säkerhet, tolerans, biokemiska markörer i blodet, funktionen samt effekt undersöktes. I den brittiska studien ingick 11 patienter. Studien var upplagd på samma sätt som på Sahlgrenska Universitetssjukhuset, men pågick i upp till 35 veckor. Patienterna fick veckovisa injektioner med 2 mg ILB per kilo kroppsvikt, vilket är en dubbling av dosen.

– Det vi sett i de bägge studierna är att den biokemiska och funktionella förbättringen kom mycket snabbt, redan efter ett par veckor. Tyvärr avtog effekten också snabbt, och cirka tre veckor efter att studien avslutats och patienterna inte längre behandlades återkom funktionsförsämringen och sjukdomen fortskred. Det visar att det troligtvis kommer att krävas långtidsbehandling med ILB. Men för att ta reda på om och hur läkemedlet fungerar på längre sikt, och vilken eller vilka doser som är optimala behöver vi genomföra större studier med fler patienter, avslutar professor Ann Logan.

### Länkar till publikationer:



Text **MADELEINE SALOMON**  
Vetenskapsjournalist  
madeleine.salomon@gmail.com