

🌟 Sijoittaja Heikki Keskiäli teki osakesalkussaan ison mylläyksen - Nyt hän kertoo, mistä potentiaalisia ostokohteita voi löytää

🌟 TERVEYDENHUOLTO

ALS-potilaan ennustettiin kuolevan vuonna 2021 - Neljä vuotta myöhemmin hän edelleen kävelee portaat ylös

Ruotsalaistutkijoiden vuosikymmenten ajan työstämä geeniterapia on hidastanut merkittävästi potilaan aggressiivisen ALS-taudin etenemistä.



Motoneuronisairaus. ALS (amyotrofinen lateraaliskleroosi) on yleisin aivoissa ja selkäytimessä kulkevien liikehermojen sairaus. KUVA: JENNI GÄSTGIVAR

Ruotsalaistutkijoiden kehittämästä geeniterapiasta on saatu lupaavia tuloksia amyotrofisen lateraaliskleroosin eli ALS-taudin hoidossa, Uumajan yliopisto [uutisoi](#).

4.5.2024 19:00

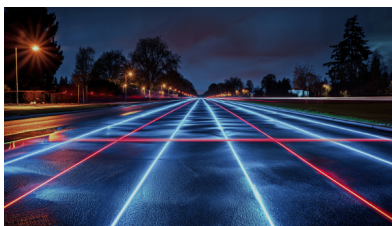


Marko Pinola

Yliopiston kliinisen lääketieteen laitoksen ja Norlannin yliopistollisen sairaalan tutkijat ovat onnistuneet laskemaan merkittävästi taudin etenemistä jouduttavan superoksididismutaasigeenin (SOD1) määrää kehittämällään geeniterapialla.

Geeniterapian toimivuutta on kokeiltu eteläruotsalaiselle potilaalle, jolta diagnosoitiin aggressiivinen SOD1-geenimutaation aiheuttama ALS-tauti vuonna 2020 Norlannin yliopistollisessa sairaalassa. Potilas

KAUPALLINEN YHTEISTYÖ CINIA



Miten varmistaa tietoturvallinen tietoliikenne

Potilaalle ennustettiin puolestatoista vuodesta kahteen vuotta elinaikaa. Kesästä 2020 lähtien potilas on osallistunut faasi III:n geeniterapiatutkimukseen, jota lääkeyhtiö Biogen rahoittaa.

Tutkimuksessa käytetty lääke on Biogenin valmiste Qalsody, jonka vaikuttavana aineena on toferseeni.

Potilas saa geeniterapiaa pistoshoitona joka neljäs viikko Kööpenhaminan yliopistollisessa sairaalassa. Geeniterapiassa tarkoituksena on estää SOD1-proteiinin kerääntymistä ja laskostumista motoneuroneissa eli keskushermoston hermosoluissa, joiden aksonit vaikuttavat suoraan tai välineuronien kautta lihassoluihin.

Taudin eteneminen pysähtyi

”Pidän tätä läpimurtona hoidoissa, joita olemme kehittäneet yli 30 vuoden ajan”, Uumajan yliopiston kliinisen lääketieteen laitoksen professori, neurologi **Peter Andersen** kuvailee yliopiston artikkelissa.

Potilas on nimittäin edelleen elossa ja voi verrattain hyvin: hän pystyy kävelemään portaat ylös, nousemaan tuolista ylös, syömään ja puhumaan hyvin sekä elämään muutoin aktiivista elämää.

Andersen kertoo, että taudin diagnosoinnin aikaan hermosolujen vaurioitumisen paljastavan merkkiaineen neurofilamentti L:n pitoisuus oli potilaalla 11 000 nanogrammaa per litra. Tämä on hurja luku jopa ALS-potilaalle.

Neljän vuoden hoitojen aikana merkkiaineen pitoisuus on pudonnut jopa 90 prosentilla.

”Viimeisimmässä [aivo-selkäydinneste]näytteessä 50 hoitopistoksen jälkeen merkkiaineen pitoisuus oli laskenut 1 290 nanogrammaan per litra. Potilaan ikäisellä terveellä aikuisella viitearvo on alle 560:n”, Andersen kertoo tuloksista ja jatkaa:

”Verinäytteessä neurofilamentin pitoisuus oli laskenut alle 12 nanogramman per litra. Terveellä aikuisella lukema on alle 13.”

ALS-potilaiden yleistä toimintakykyä mittaavalla ALSFRS-R-asteikolla (Revised Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale) kokeellista hoitoa saanut potilas pisteytti lukeman välillä 35 ja 37.

Tutkittavaa riittää

Artikkeli jatkuu mainoksen jälkeen



Tutkimuksessa käytetty Qalsodya ei toistaiseksi ole laajemmin saatavilla Ruotsissa. Yhdysvaltain ruoka- ja lääkeviranomainen FDA on kuitenkin hyväksynyt lääkkeen aikaisemmin, ja 23. helmikuuta kuluva vuotta Euroopan lääkeviranomainen Ema suositteli lääkettä SOD1 -geenimutaatiota kantaville potilaille EU:n alueella.[☞](#)

Lääkkeet + Seuraa