



התקדמות מעודדת בניסוי הגנטי של חברת Taysha - בוסטון, יוני 2025

ב-11 ביוני 2025, חברת Taysha Gene Therapies הציגה עדכון חיובי במסגרת כנס המחקר המדעי של עמותת רט האמריקאית (IRSF) שנערך בבוסטון (9-11 ביוני), וכלל ממצאים חדשים מניסויי הגן-TSHA-102 לטיפול בתסמונת רט.

להלן עיקרי הדברים:

- **ללא תופעות לוואי חמורות הקשורות לטיפול:**

נכון לעדכון ביוני, הטיפול TSHA-102 ממשיך להיות בטוח יחסית. בכל עשרת המטופלות – גם בילדות וגם במתבגרות ובוגרות, בשתי רמות מינון – לא דווחו תופעות לוואי חמורות (SAEs) או רעילות מגבילה (DLTs) הקשורות לטיפול.

- **שיפור משמעותי באבני דרך התפתחותיות:**

כל עשרת המטופלות הראו שיפור בלפחות אבן דרך אחת, כולל מיומנויות שבעבר נחשבו בלתי הפיכות לאחר גיל ילדות מוקדמת.

- **תגובה מהירה יותר במינון גבוה:**

מטופלות שקיבלו את המינון הגבוה הגיבו לטיפול בכ-25% מהר יותר מאשר אלו שקיבלו את המינון הנמוך – סימן מבטיח לשינוי מהותי במחלה.

- **שיפורים תפקודיים ששינו את החיים:**

שיפור במיומנויות מוטוריות: ישיבה עצמאית, שימוש משופר בידיים, הליכה עם תמיכה.
שיפור בתקשורת: יותר ווקליזציה, שימוש במכשירי מבט, הצבעה, ואפילו ביטוי של משפטים קצרים.
שיפור בתפקודים אוטונומיים: נשימה סדירה יותר ושינה טובה יותר.
ירידה בפרכוסים ובהתאם – גם בהפחתת מינון התרופות האנטי-אפילפטיות.

- **התקדמות רגולטורית מול ה-FDA:**

מינהל המזון והתרופות האמריקאי מאפשר לחברה להתקדם במסלול מואץ בזכות השתתפותה בתוכנית RMAT המספקת גמישות רגולטורית ומפגשים תכופים יותר עם הרשות.
ה-FDA אישר לחברה לדלג על סיכום שלב A ולעבור ישירות לעדכון פרוטוקול לשלב B המכריע, מה שמקצר את לוחות הזמנים לפיתוח והבאת הטיפול לשוק.

- **רקע:**

בשלב 1/2 של הניסוי הקליני:

4 מטופלות קיבלו את המינון הנמוך (תחילת הטיפול לפני 18 חודשים).

6 מטופלות קיבלו את המינון הגבוה לאחר מכך.

כיוון שמדובר בטיפול חד-פעמי, זמן המעקב משתנה בין המטופלות.

מה השתפר אצל המטופלות?

במחקר ההיסטוריה הטבעית של NIH בתסמונת רט (n=1100) זוהו 28 אבני דרך שלא נצפו משתפרות לאחר גיל 6.





במסגרת הניסוי, כל 10 המטופלות השיגו לפחות אחת מהאבנים הללו – למרות שלא טיפול הסיכוי היה 0%.

כדי לאמת את השגת אבן הדרך :

היה צורך להוכיח שלא הייתה קיימת לפני הטיפול (בוידאו).

לאחר הטיפול – היה צורך להדגים את אותה פעולה 3 פעמים בתנאים מבוקרים בוידאו.

22 מתוך 28 אבני הדרך הללו הושגו בקרב 10 המטופלות.

• מה יקרה בשלב B המכריע?

יכלול 15 משתתפות.

משך המעקב: 12 חודשים.

כל מטופלת תשמש כביקורת של עצמה – לא תהיה קבוצת פלצבו.

השיפורים יוערכו באמצעות סרטונים בלתי תלויים שיתעדו את התפקודים.

תתבצע סקירת ביניים לאחר 6 חודשים.

ניתן יהיה לטפל בכמה מטופלות במקביל, בהתאם לזמינות האתרים הקליניים.

היכן מתקיימים הניסויים?

6 אתרי ניסוי למבוגרות/מתבגרות : 5 בארה"ב, 1 בקנדה.

10 אתרי ניסוי בילדות : 8 בארה"ב, 1 בקנדה, 1 בבריטניה.

בבריטניה וקנדה עדיין נדרשות התאמות מול הרגולטורים לקראת שלב B עם זאת, בבריטניה כבר ניתן לחברה סיווג מואץ (ILAP) שיאיץ את התהליך.

• מה צפוי הלאה?

החברה צפויה להגיש את פרוטוקול שלב B במהלך יוני 2025.

ל-FDA יש 30 יום לבדוק את הבקשה, ואם לא יידרשו תיקונים – אפשר להתחיל בטיפול.

נתונים נוספים צפויים להתפרסם מאוחר יותר השנה.

אם יוכח שהטיפול מביא לשיפורים מתמשכים אחרי מתן חד-פעמי – מדובר במהפכה בטיפול בתסמונת רט.

למידע נוסף באתר החברה : <https://ir.tayshagtx.com/news-events/events-presentations>

