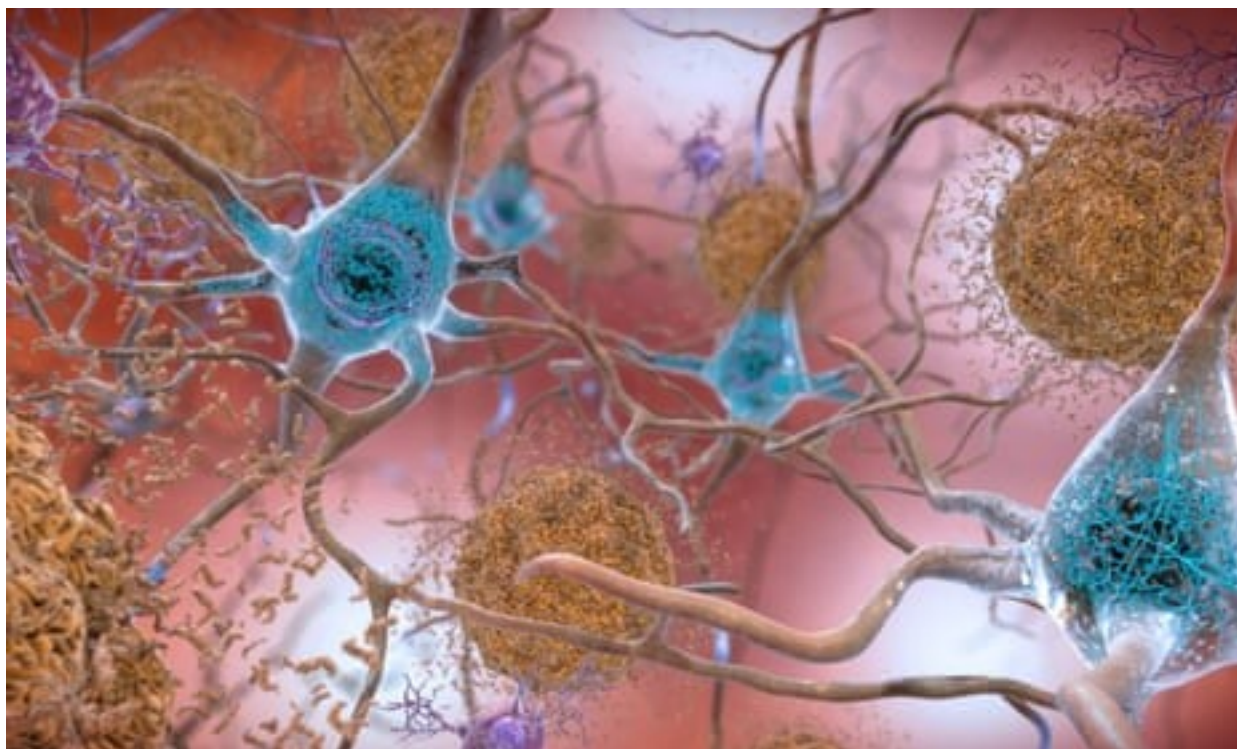


Trần Thị Kim San –

Ngày 06/07/2023, Cục Quản lý Thuốc phẩm và Dược phẩm Hoa Kỳ - FDA đã chuyển Leqembi (lecanemab-irmb) thành chấp thuận truyền thống với chỉ định điều trị bệnh nhân trưởng thành mắc bệnh Alzheimer sau khi thử nghiệm đã xác nhận lợi ích lâm sàng. Leqembi là kháng thể đơn dòng nhắm Amyloid-beta đầu tiên được chuyển đổi từ phê duyệt chấp thuận sang phê duyệt truyền thống điều trị bệnh Alzheimer. Thuốc hoạt động bằng cách giải các mảng amyloid hình thành trong não. Leqembi đã được phê duyệt vào tháng 1 theo lộ trình Phê duyệt nhanh. Con đường này cho phép FDA phê duyệt các loại thuốc cho các tình trạng nghiêm trọng có nhu cầu chưa được đáp ứng, dựa trên dữ liệu lâm sàng chứng minh tác động của thuốc đối với một tiêu chí điều trị - trong trường hợp của Leqembi, làm giải các mảng amyloid trong não - có khả năng đem lại lợi ích lâm sàng cho bệnh nhân.



Hình minh họa mô tả các tế bào trong não bị ảnh hưởng bởi bệnh Alzheimer, với các đám rối protein beta-amyloid kết tụ lại với nhau để tạo thành mảng.

Bệnh Alzheimer là một rối loạn não tiến triển không thể đảo ngược, ảnh hưởng đến hơn 6,5 triệu người Mỹ. Căn bệnh này dần dần phá hủy trí nhớ, khả năng tư duy và cuối cùng là khả năng thực hiện các công việc hàng ngày. Mặc dù nguyên nhân của bệnh Alzheimer vẫn chưa được biết đầy đủ, nhưng nó được đặc trưng bởi những thay đổi trong não - bao gồm sự hình thành các mảng amyloid beta và đám rối (tau) - dần dần mất các tế bào thần kinh và kết nối của chúng.

Nghiên cứu 301 là một thử nghiệm đa trung tâm, ngẫu nhiên, mù đôi, có nhóm chứng, nhóm song song, thu nhận 1.795 bệnh nhân mắc bệnh Alzheimer. Điều trị bắt đầu bằng bệnh nhân nhận suy giảm nhận thức nhẹ hoặc giai đoạn sa sút trí tuệ nhẹ và được xác nhận bởi nồng độ beta amyloid bệnh lý. Bệnh nhân được chọn ngẫu nhiên theo tỷ lệ 1:1 để nhận giả dược hoặc leqembi với liều 10 miligam (mg)/kg (kg), hai tuần một lần. Leqembi đã chứng minh mức giảm đáng kể về mức độ thoái hóa và có ý nghĩa lâm sàng đối với suy giảm so với mức độ suy giảm còn 18 tháng tiêu chí đánh giá chính so với giả dược. Sự khác biệt đáng kể về mức độ thoái hóa các nhóm điều trị cũng đã được chứng minh trên tất cả các chỉ tiêu phụ, bao gồm Thang đánh giá chức năng nhận thức của bệnh Alzheimer – ADAS - Cog, và thang Alzheimer’s Disease Cooperative Study-Activities of Daily Living (ADCSADL) đối với suy giảm nhận thức nhẹ.

Các tác động phụ phụ biến nhất của leqembi là đau đầu, phản ứng liên quan đến truyền dịch và các bất thường hình ảnh liên quan đến amyloid (amyloid-related imaging abnormalities - ARIA). ARIA thường biểu hiện dưới dạng sưng tấy tạm thời ở các vùng não nhìn thấy trên các nghiên cứu hình ảnh thoái hóa thể khảm theo thời gian và có thể kèm theo các vùng chảy máu nhỏ trong hoặc trên bề mặt não. Mặc dù ARIA thường không liên quan đến bất kỳ triệu chứng nào, nhưng các triệu chứng có thể xảy ra bao gồm đau đầu, lú lẫn, chóng mặt, thay đổi thị lực và buồn nôn. ARIA cũng hiếm khi có biểu hiện phù não nghiêm trọng và đe dọa tính mạng liên quan đến co giật và các triệu chứng thần kinh nghiêm trọng khác. Xu hướng tự nhiên sẽ có thể xảy ra những bệnh nhân nhận được điều trị bằng nhóm thuốc này và có thể gây tụt vong. Một cảnh báo đóng khung (black box) trong thông tin kê đơn để cảnh báo bệnh nhân và người chăm sóc về những rủi ro tiềm ẩn liên quan đến ARIA.

Những bệnh nhân nhận được điều trị bằng leqembi có gen di truyền haploallelen ApoE ε4 có tỷ lệ mức ARIA cao hơn, bao gồm ARIA có triệu chứng, nghiêm trọng và nặng, so với những người di haplo và người không mang mầm bệnh. Thông tin kê đơn nêu rõ rằng nên thận trọng xét nghiệm tình trạng ApoE ε4 trước khi bắt đầu điều trị bằng leqembi để thông báo nguy cơ mức ARIA.

Leqembi chứng minh rằng những bệnh nhân quá mức nghiêm trọng với lecanemab-irmb hoặc với bất kỳ thành phần không hoạt động nào của nó. Các phản ứng bất lợi có thể bao gồm phù mạch (sưng) và sốc phản vệ (phản ứng dị ứng).

Leqembi nên được bắt đầu ở những bệnh nhân suy giảm nhận thức nhẹ hoặc giai đoạn sa sút trí tuệ nhẹ của bệnh Alzheimer, là các đối tượng điều trị đã được nghiên cứu trong các thử nghiệm lâm sàng. Thông tin trên nhãn thuốc nói rằng không có dữ liệu an toàn hoặc hiệu quả về việc bắt đầu điều trị ở giai đoạn sớm hơn hoặc muộn hơn của bệnh so với nghiên cứu.

Sơ chế thuốc của Leqembi đã được cấp cho Công ty Eisai Inc.

Tài liệu tham khảo:

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-converts-novel-alzheimers-disease-treatment-traditional-approval>