



Uma breve visão do estudo

O tratamento BrainStorm consiste em células-tronco da própria pessoa (chamadas autólogas) sendo removido da medula óssea e, em seguida, cultivado fora do corpo na presença de um produto químico de propriedade da empresa chamada NurOwn, que visa aumentar a capacidade das células-tronco de produzir e ocultar substâncias protetoras chamadas fatores de crescimento. As células-tronco são então injetadas no fluido que banha o cérebro e a medula espinhal (chamado líquido cefalorraquidiano ou LCR) com uma agulha (chamada intratecal ou injeção IT) em múltiplos intervalos. A esperança é que essas células-tronco tratadas sejam capazes de retardar a progressão da degeneração do neurônio motor e, portanto, a progressão dos sintomas da ELA.

Em 2016, a primeira publicação revisada por pares apareceu, demonstrando preliminarmente, dados de segurança positivos em combinação com a BrainStorm completando um ensaio clínico de fase 2 em três renomados centros clínicos nos Estados Unidos. Os dados do ensaio de fase 2 envolveram 48 pacientes com ELA (36 tratados e 12 com placebo) e foram publicados em dezembro de 2019 na revista *Neurology*, intitulada “*Um transplante de dose única de células MSC-NTF é seguro e demonstrou primeiros sinais promissores de eficácia.*”

Um ensaio clínico de fase 3 que testa doses múltiplas de NurOwn em 200 participantes em 6 locais nos Estados Unidos foi iniciado em 2017. O ensaio foi duplo-cego, o que significa que nem os pesquisadores nem os participantes sabiam se eles estavam em tratamento ativo ou placebo. As medições primárias foram para examinar a segurança de repetidas injeções intratecais de NurOwn e a sua capacidade de retardar a progressão da ELA, usando uma escala chamada ALSFRS-R. Para determinar se as células-tronco tratadas com NurOwn estavam fornecendo o efeito biológico pretendido, o LCR foi medido para biomarcadores incluindo fatores neurotróficos (visando níveis aumentados) e fatores neurodegenerativos / neuroinflamatórios (visando níveis reduzidos).

Em 17 de novembro de 2020, um comunicado de imprensa foi emitido descrevendo os dados iniciais do ensaio clínico da fase 3. **O ensaio não encontrou significância estatística em nenhum dos dados relatados; notavelmente na medição primária da progressão da doença usando o ALSFRS-R.** Um subgrupo pré-especificado de pessoas com doença inicial foi destacado no comunicado à imprensa como mostrando uma desaceleração clinicamente significativa da progressão de ALS, no entanto, esses resultados também não foram estatisticamente significativos. **Além disso, foi relatado que o tratamento com NurOwn resultou em um aumento de biomarcadores neurotróficos e redução de biomarcadores neurodegenerativos e neuroinflamatórios quando comparado ao grupo placebo, que está alinhado com o que o ensaio esperava alcançar.** A análise de acompanhamento investigará se esses resultados de biomarcadores, além de uma análise mais aprofundada do subgrupo pré-especificado daqueles com doença inicial, podem revelar qualquer informação adicional.

Recomendação

Com base nos dados divulgados pela BrainStorm, o SAC recomenda que não haja evidências conclusivas no momento, para sugerir que o NurOwn ofereça benefícios para pessoas com ELA. Quando os dados de teste adicionais se tornam disponível e uma análise posterior seja realizada, o SAC continuará a fornecer atualizações sobre o que a comunidade científica e médica aprende que pode apoiar o desenvolvimento de tratamentos eficazes para ALS / MND.