KLINISKT FTD-ALS SYMPOSIUM · KAROLINSKA INSTITUTET

Kliniska läkemedelsstudier vid ALS

Karolina Stern, forskningssjuksköterska · ALS Clinical Research Group · 9 november 2026

Sedan 2018: ett 20-tal ALS läkemedelsstudier

3 **Fas 1**
Första gången på människa

- ALNSOD
- Aurora
- LTX002

6 **Fas 2**
Dos och tidiga effektsignaler

- ALSPET/BLZ945
- AP101
- Astrals
- Himalaya
- RT001
- Unite ALS

9 **Fas 3**
Bekräfta effekt och säkerhet

- ADORE
- Alexion
- CY5031/CY5053
- Lighthouse II
- MAGNET
- Phoenix
- Prevails
- Realise
- REFALS

Tre perspektiv på kliniska läkemedelsstudier

1 Vetenskapligt perspektiv

Vad försöker vi åstadkomma med nya behandlingar?

2 Kliniskt perspektiv

Hur genomförs en läkemedelsstudie och hur mäter vi effekt?

3 Patientens perspektiv

Vad innebär det att delta, och vilka utmaningar möter patienten och närstående?

Kärnfrågan: Kan vi påverka sjukdomens förlopp på ett säkert och meningsfullt sätt?

PERSPEKTIV 1 AV 3

Det vetenskapliga perspektivet

Vad försöker vi åstadkomma med nya behandlingar?

Varför behövs fler kliniska läkemedelsstudier?

1 Stort medicinskt behov

Befintliga behandlingsmöjligheter räcker inte för att möta alla patienters behov.

2 Flera sjukdomsmekanismer

Genetik, proteinomsättning, axonal transport och neuroinflammation är exempel på forskningsspår.

3 Klinisk prövning behövs

En biologiskt rimlig idé måste prövas systematiskt för att visa säkerhet och klinisk nytta.

Målet: att påverka sjukdomens förlopp på ett säkert och meningsfullt sätt.

Vad försöker behandlingarna påverka?

1 Genetiskt riktad behandling

Exempel: behandlingar riktade mot specifika genförändringar, såsom SOD1. Målet är att påverka den sjukdomsdrivande mekanismen.

2 RNA och protein

Strategier som påverkar RNA, proteinsyntes, felveckade proteiner eller proteiners nedbrytning.

3 Nervcellens miljö

Behandlingar som undersöker neuroinflammation, cellstress, metabolism och skydd av motorneuron.

4 Biomarkörer

Mätningar som kan hjälpa oss förstå sjukdomsaktivitet, biologisk behandlingseffekt och variation mellan patienter.

Vad kan prägla nästa steg?

1 Mer precision

Genetiskt och biologiskt definierade patientgrupper kan möjliggöra riktade behandlingar.

2 Tidigare behandling

Frågan om när i sjukdomsförloppet en behandling bör sättas in blir central.

3 Bättre mätverktyg

Biomarkörer och kliniska utfall kan tillsammans ge en mer nyanserad bild.

Målet är inte bara att visa en biologisk effekt – **utan att visa en säker och meningsfull skillnad för människor som lever med ALS.**

PERSPEKTIV 2 AV 3

Det kliniska perspektivet

Hur genomförs en läkemedelsstudie och hur mäter vi effekt?

Från tidig prövning till klinisk evidens

Fas I

Säkerhet
Tolerabilitet
Dosering

→

Fas II

Dos och biologisk effekt
Tidiga signaler om effekt

→

Fas III

Bekräfta effekt och säkerhet i större patientgrupper

→

Efter godkännande

Fortsatt uppföljning
Verklig användning

Alla faser bidrar med olika kunskap – från om behandlingen kan ges till om den gör skillnad för patienten.

Från patient till studiedeltagare

1 Identifiering

Möjlig studiedeltagare uppmärksammas

2 Pre-screening

Grundläggande kriterier gås igenom

3 Information

Studien förklaras och samtycke inhämtas

4 Screening

Undersökningar och kriterier kontrolleras

5 Inklusion

Deltagaren inkluderas och randomiseras vid behov

6 Uppföljning

Behandling, säkerhet och effekt följs

Varje steg kräver **tydlig dokumentation, patientsäkerhet och följsamhet till protokollet.**

Vanligaste inklusions- och exklusionskriterier

Kriterierna varierar mellan studier och står i protokollet.

Inklusionskriterier

Ålder
Tid sedan symtomdebut
Lungfunktion (FVC/SVC)
Funktionell status (ALSFRS-R)
Genmutation, om studien kräver det

Exklusionskriterier

Andra medicinska tillstånd (komorbitet)
Aktiv cancersjukdom
Interagerande läkemedel

Hur vet vi om behandlingen fungerar?

Studiedesignen ska minska risken för systematiska fel och ge tillförlitliga resultat.

1 Randomisering

Deltagare fördelas enligt en förutbestämd metod till olika behandlingsgrupper.

2 Blindning och placebo

Kan minska påverkan från förväntningar hos deltagare och bedömare.

3 Effektmått

Primära och sekundära utfall beskriver vad studien ska mäta.

EXEMPEL PÅ MÅTT INOM ALS

ALSFRS-R – funktion över tid

Respiratoriska mått och överlevnad

Biomarkörer, exempelvis neurofilament

VIKTIGT

En förändring i en biomarkör är inte automatiskt detsamma som en märkbar klinisk förbättring.

PERSPEKTIV 3 AV 3

Patientperspektivet

Vad innebär det att delta – och vilka utmaningar möter patienten och närstående?

Vad innebär det att delta?

Att delta är frivilligt – och deltagaren kan när som helst välja att avbryta.

1 Studiebesök

Spirometri, EKG, blodprov och frågeformulär. I vissa studier även lumbalpunktion.

2 Tätare uppföljning

Vi monitorerar mer än i kliniken, remitterar vidare vid behov och informerar, till exempel om PEG.

3 Vi lär känna varandra

Deltagarna träffar oss ofta, och familjen är ofta med på besöken.

En studie kan ge patienten hopp i en annars hopplös situation.

Vilka undersökningar som görs varierar mellan studier och står i protokollet.

Var kommer våra studiedeltagare ifrån?

Patienter från hela Sverige kan delta – och vi har även inkluderat patienter från andra länder.

50 %

bor utanför Stockholms län

Hälften av våra studiepatienter är utomlänspatienter.

50 %

bor i Stockholms län

Resten av våra studiepatienter bor i Stockholm.

Finland och Italien

Vi har även inkluderat patienter från Finland och Italien.

Många reser långt för att delta – **det ställer krav på planering och stöd.**

Utmaningar för patient och närstående

Studien ska vara vetenskapligt robust – och praktiskt möjlig att delta i.

NÄRSTÅENDE

Familjen är ofta med på besöken och är ett viktigt stöd genom hela studien.

1 Belastning

Resor, många besök och praktiska krav för patient och närstående.

2 Långa resor

Patienter reser från hela Sverige för att delta i en studie.

3 Sjukdomen går framåt

Fler hjälpmedel behövs med tiden: ögonstyrd dator, PEG och ventilator.

4 Snäva tidsfönster

Begränsade patientunderlag och snäva kriterier påverkar vem som kan delta.

När kognition och beteende också spelar roll

ALS kan förekomma tillsammans med kognitiva och beteendemässiga förändringar inom ALS-FTD-spektrumet.

1 Studieinformation

Information behöver vara begriplig, anpassad och ges med utrymme för frågor.

2 Beslutsförmåga

Förmågan att förstå och ta ställning behöver bedömas i den aktuella situationen.

3 Närståendes roll

Närstående kan vara ett viktigt stöd – men ersätter inte automatiskt deltagarens eget samtycke.

Kognitiv påverkan innebär inte automatiskt exklusion. Bedömningen beror på protokollet, deltagarens förutsättningar och gällande etiska krav.

SAMARBETE

TRICALS: ett internationellt nätverk

Europas största nätverk av specialistcentra för ALS – en oberoende sammanslutning.

NÄTVERKET I SIFFROR

60

utbildade ALS-centra

19

länder

Karolinska deltar aktivt

Caroline Ingre sitter i TRICALS Executive Board.

Kontakt

Hemsida: **tricals.org**

E-post: **info@tricals.org**

Källor: ki.se/cns/tricals-swedish · tricals.org

AVSLUTNING

Från forskning till patient

Kliniska behandlingsstudier är mer än prövning av nya läkemedel.

De är en förutsättning för att utveckla framtidens ALS-behandlingar.

Bakom varje studiedeltagare finns en människa och ofta en hel familj.

Forskningens uppgift är att göra skillnad – med vetenskaplig noggrannhet och patienten i centrum.

ETT TACK FRÅN EN DELTAGARE

Who dares wins

Från en deltagare vid hans avslutande besök – i en studie som avslutades i förtid eftersom läkemedlet inte hade effekt.

”Våga tro på det som ännu inte är bevisat.”

”forskning handlar inte bara om läkemedel, resultat och vetenskap. Den handlar också om människorna bakom. Om omtanke, medmänsklighet och viljan att finnas där när vägen är svår.”

”Tack för att ni tog hand om mig.”

Tack! Frågor?

Intresseanmälan: skicka en anonymiserad journalkopia per e-post till studieteamet, som bedömer behörigheten och återkopplar.

karolina.stern@regionstockholm.se

Karolina Stern, forskningssjuksköterska · ALS Clinical Research Group