Pågående behandlingsstudier

Fyra kliniska prövningar vid ALS som pågår vid Karolinska just nu

Caroline Ingre

UTGÅNGSLÄGET

Bromsande behandling i dag

Alla med ALS

Riluzol

Tablett två gånger dagligen. Förlänger överlevnaden med i genomsnitt några månader.

SOD1-ALS · cirka 2 %

Tofersen (Qalsody)

Antisensläkemedel som minskar bildningen av SOD1-protein. Ges i ryggvätskan var fjärde vecka.

NT-rådet 2026: vid bekräftad SOD1-variant och snabbt förlopp, efter samråd med behandlingsrådet för ALS.

Det första läkemedlet som angriper orsaken finns nu – men bara för ett par procent.

Tofersen: NT-rådets rekommendation, juni 2026

UTGÅNGSLÄGET

Så fungerar antisens (ASO)

Gen
Ritningen i cellkärnan (DNA)

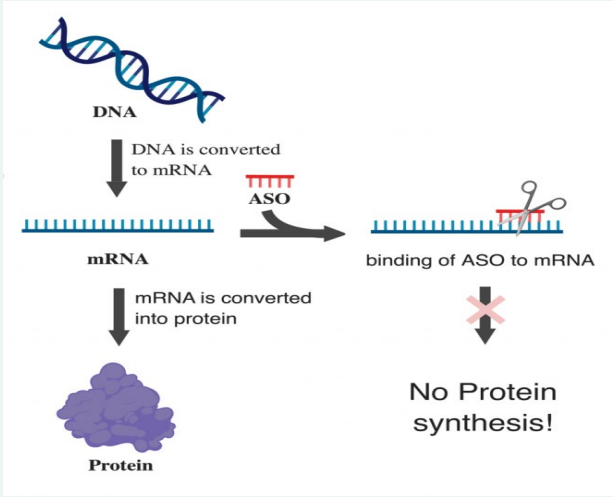
→

Budbärar-RNA
Kopian – här binder ASO

→

Protein
Det som skadar nervcellen

En ASO är en kort, syntetisk DNA-sträng som passar exakt till ett enda budbärar-RNA.
Kopian bryts ned – och mindre av det skadliga proteinet bildas.
Ges i ryggvätskan och måste upprepas.



SOD1-ALS · godkänt
Tofersen
Sänker SOD1. Var fjärde vecka.

FUS-ALS · positiv fas 3
Ulefnersen
Sänker FUS. Samma princip, annat mål.

CHCHD10-ALS · en patient
nL-CHCHD-001
Skräddarsydd för en enda persons mutation.

UTGÅNGSLÄGET

På väg: antisens för fler genetiska former

FUS-ALS · under 1 % · ännu ej godkänt

Ulefnersen

Antisens som sänker FUS-proteinet. Ges i ryggvätskan.

Fas 3-studien FUSION nådde sitt primära effektmått
Nyheten kom ut september 2026.

FUS-ALS drabbar ofta unga och går ofta snabbt.

CHCHD10-ALS · en enda patient

nL-CHCHD-001

Antisens designad för en mans mutation, framtagen på cirka tre år i Australien.

-50 %

NfL, nu normalt

33 → 36

ALSFRS-R efter ett år

Sex doser i ryggvätskan på ett år. Inga allvarliga biverkningar.

Ulefnersen: FUSION, september 2026 · CHCHD10: Cousin M, et al. Med 2026; Nature 18 september 2026

UTGÅNGSLÄGET

Pågående kliniska prövningar vid Karolinska

PREVAiLS · pridopidin

Behöver patienter

Fas 3. Tablett i 48 veckor mot placebo, sedan öppen fas.

För vem: högst 18 månader från debut, vitalkapacitet minst 60 %.

Stockholm och Umeå

UNITE-ALS · usnoflast

Behöver patienter

Fas 2b. Tablett som dämpar inflammation, 36 veckor mot placebo.

För vem: högst 24 månader från debut, ALSFRS-R minst 35.

Stockholm, Malmö och Umeå

NeurALS · LTX-002

Rekryterar

Fas 1/2. Antisens mot SPTLC1, ges i ryggvätskan.

För vem: 18–75 år, under 36 månader från debut.

Stockholm

ALN-SOD · vid SOD1-ALS

Rekryterar

Fas 1/2. siRNA mot SOD1, ges i ryggvätskan.

För vem: SOD1-variant, inget tofersen senaste 6 månaderna.

Stockholm och Umeå

Fråga tidigt – de flesta studier kräver kort sjukdomstid. Remiss går till studieteamet vid Karolinska.

Källor: ClinicalTrials.gov och CTIS, hämtat 9 oktober 2026

UTGÅNGSLÄGET

Så går en läkemedelsprövning till

Fas 1 · tiotal deltagare

Är det säkert?

Första gången i människa. Stigande doser, biverkningar och hur läkemedlet tas upp.

NeurALS · ALN-SOD

Fas 2 · upp till några hundra

Når det målet?

Rätt dos, påverkan på biomarkörer som neurofilament, tidiga tecken på effekt.

UNITE-ALS

Fas 3 · hundratals deltagare

Hjälper det patienten?

Effekt på funktion och överlevnad mot placebo. Underlag för godkännande.

PREVAiLS

Placebo ges ovanpå riluzol och all vanlig vård – ingen avstår behandling.

Efter den blindade delen erbjuds ofta alla läkemedlet i en öppen förlängning.

PREVAILS · FAS 3 · BEHÖVER PATIENTER

Pridopidin – stärker cellens stressförsvar

Tablett som aktiverar sigma-1-receptorn – ett protein i cellens endoplasmatiska nätverk, nära mitokondrierna.

- Bättre hantering av felveckade proteiner och cellstress
- Skyddar mitokondriernas funktion
- Ökar tillväxtfaktorn BDNF och stöder transporten i axonet

Varför en fas 3? HEALEY-plattformen, fas 2

Inget utfall i hela gruppen. Hos dem med tidig och snabb ALS (högst 18 månader från debut):

32 %
långsammare funktionsförlust

62 %
långsammare försämring av andningen

Undergruppsanalys – en hypotes som PREVAiLS nu prövar.

Upp till 500 deltagare, cirka 60 centra

45 mg två gånger dagligen eller placebo (3:2)

48 veckor blindat, sedan 48 veckor öppet för alla

Prilenia/Ferrer · ClinicalTrials.gov NCT07322003 · CTIS 2025-524002-16-00 · HEALEY ALS-plattformen

PREVAILS · FAS 3 · BEHÖVER PATIENTER

Vem kan delta i PREVAiLS?

Kan delta

- 18–80 år
- Definitiv eller sannolik ALS enligt El Escorial
- Högst 18 månader sedan första symtom
- Vitalkapacitet (SVC) minst 60 % av förväntat
- TRICALS-riskprofil -6 till -2
- Kan svälja kapslar

Kan inte delta

- Känd mutation i SOD1, FUS eller C9orf72
- QT-förlängande läkemedel, betydande hjärtsjukdom eller arytmi
- Trakeostomi eller permanent andningsstöd
- Kognitiv svikt som hindrar samtycke
- Tidigare genterapi eller antisensbehandling

Riskprofilen räknas ut av studieteamet från remissen. Riluzol tillåts i stabil dos. Besök var 1–3 månad i Stockholm eller Umeå.

Källor: ClinicalTrials.gov NCT07322003 och CTIS 2025-524002-16-00, hämtat 9 oktober 2026

UNITE-ALS · FAS 2B · BEHÖVER PATIENTER

Usnoflast – dämpar inflammationen

Tablett som hämmar NLRP3-inflammasomen – ett proteinkomplex i mikroglia och andra immunceller som startar inflammation.



Usnoflast bryter kedjan i mitten. Det tas upp i centrala nervsystemet.

Hittills

Fas 1: säkert hos friska frivilliga

Fas 2a vid ALS, 12 veckor: väl tolererat. ALSFRS-R och vitalkapacitet förbättrades något; neurofilament sjönk, men inte signifikant

Cirka 240 deltagare i USA och Europa

50 mg × 2, 75 mg × 2 eller placebo

36 veckor, sedan öppen förlängning för alla

Zydus Lifesciences · ClinicalTrials.gov NCT07023835 · CTIS 2025-522580-15-00 · MND Association

UNITE-ALS · FAS 2B · BEHÖVER PATIENTER

Vem kan delta i UNITE-ALS?

Kan delta

- 18 år eller äldre – ingen övre åldersgräns
- Sannolik eller definitiv ALS enligt El Escorial
- Högst 24 månader sedan första symtom
- ALSFRS-R minst 35
- Vitalkapacitet (SVC) minst 60 % av förväntat
- Inget krav på genetik

Kan inte delta

- eGFR under 60, kraftigt förhöjda leverprover
- Steroider, kolkicin eller anti-IL-1 senaste veckan
- Allvarlig infektion senaste månaden, hiv, hepatit B eller C
- Epilepsi senaste halvåret
- Demens eller kognitiv svikt, tidigare stamcells- eller genterapi

Riluzol, edaravon och tofersen tillåts i stabil dos. Siter i Stockholm, Malmö och Umeå.

Källor: CTIS 2025-522580-15-00 och ClinicalTrials.gov NCT07023835, hämtat 9 oktober 2026

NEURALS · FAS 1/2 · REKRYTERAR

LTX-002 – antisens mot fettomsättningen

Antisens som sänker SPTLC1 – enzymet som startar bildningen av sfingolipider och ceramider.

SPTLC1 sänks → Mindre sfingolipider och ceramider → Mindre skada på nervcellen

Ansamling av sfingolipider ses vid både sporadisk och ärftlig ALS – därför riktar sig studien till alla med ALS.

Hos apor nådde läkemedlet hjärna och ryggmärg och sänkte nivåerna, utan säkerhetsproblem.

Studien

Första gången i människa. Cirka 56 deltagare

Tre injektioner i ryggvätskan under tre månader, stigande doser mot placebo

Mål: säkerhet över sex månader, sfingolipider och neurofilament

För vem: ALS enligt Gold Coast, 18–75 år, under 36 månader från debut, SVC över 50 %, ingen tidigare antisens

Site endast i Stockholm

Leal Therapeutics · ClinicalTrials.gov NCT07660614 · ALS News Today, 25 juni 2026

ALN-SOD · GOALS · FAS 1/2 · REKRYTERAR

ALN-SOD – siRNA vid SOD1-ALS

I dag

Tofersen · antisens

Bryter ned SOD1-mRNA. Lumbalpunktion var fjärde vecka.

I studien

ALN-SOD · siRNA

Bryter ned SOD1-mRNA på annat sätt. Lumbalpunktion var sjätte månad.

Vem kan delta

Sjukdomsassocierad SOD1-variant, SVC minst 50 %, BMI högst 35, inget tofersen senaste 6 månaderna.

Första data, ALS Nexus augusti 2026 · 9 deltagare i tre dosgrupper

-19 till -42 %

SOD1-protein i ryggvätskan efter 12 veckor

≥ 50 %

lägre neurofilament efter 16 veckor, i alla dosgrupper

Mest milda biverkningar. Mycket små tal – för tidigt att tala om klinisk effekt.

Site endast i Stockholm

Regeneron/Alnylam · ClinicalTrials.gov NCT06351592 · ALS News Today, 28 augusti 2026

REMISS

Det här behöver studieteamet veta

Minimikrav

1. Bekräftad ALS-diagnos
2. Datum för första symtom
3. Senaste vitalkapacitet i procent
4. Patienten vill och kan resa till studiekliniken

Gärna också

- Aktuell ALSFRS-R med datum – så att progresstakten kan räknas
- Debutlokal och diagnoskategori (El Escorial eller Gold Coast)
- Genetik om testad: C9orf72, SOD1, FUS. FTD eller kognitiv svikt
- Läkemedel: riluzol med startdatum, QT-förlängande läkemedel
- Vikt och BMI, NIV, hjärtsjukdom, tidigare studier

Skickas som anonymiserad journalkopia per e-post till studieteamet, som bedömer behörigheten och återkopplar. [Karolina.Stern@regionstockholm.se

Källa: KI:s remissguide för ALS-prövningar, uppdaterad 9 juli 2026

Läkemedel vid FTD– begränsad roll

- Svag evidens
- SSRI förstahandsval
- Stor biverkningskänslighet
- Neuroleptika → stor försiktighet

Specifika insatser gör skillnad

- Afasi/tal och språkstörning → logoped och kommunikation
- Motorik → teaminsats
- ALS → nutrition och andning