

חברת GHF-Golden Heart Flower (פרח לב הזהב), קיבלה מה-FDA מעמד של תרופת יתום עבור GHF-201 לטיפול במחלות אגירת גליקוגן מסוג 4, הכוללת את המחלה הנדירה וחשובת המרפא - APBD (Adult Polyglucosan Body Disease)

הישג משמעותי לחברת ההזנק הישראלית מעפולה: GHF (קיצור של Golden Heart Flower, פרח לב הזהב) מודיעה היום (9 אוגוסט 2023) שמנהל התרופות והמזון האמריקאי (FDA) העניק לטיפול אותו מפתחת החברה בשנתיים האחרונות, מעמד של "תרופה יתומה" (תרופה שמספר החולים הנזקקים לה קטן מאוד), כשמטרת התרופה היא טיפול במחלה חשובת המרפא Adult Polyglucosan Body Disease (APBD).

APBD היא מחלה גנטית, המתפרצת בדרך כלל אחרי גיל 40 ונפוצה יותר בקרב יהודים ממוצא אשכנזי. המחלה נגרמת כתוצאה ממוטציה בגן שאחראי על ייצור תקין של גליקוגן, רב-סוכר הבנוי מגלוקוז ומהווה מקור אנרגיה זמין לפעילות התאים בגוף. כתוצאה מכך, נוצרת פגיעה רב מערכתית ופרוגרסיבית, שמובילה לנכות ולפגיעה קשה באיכות החיים של החולים וסביבתם. המחלה מתבטאת בחוסר תחושה, ספאסטיות וחולשה עד לכדי שיתוק בגפיים, בעיות ברפלקסים, דחיפות במתן שתן, עייפות ולעיתים גם פגיעה קוגניטיבית.

כיום, מאובחנים למעלה מ-300 חולי APBD בעולם, **רובם בישראל וארה"ב**. עם זאת, מחקרים שנעשו בשנים האחרונות מגלים כי שכיחות המחלה גדולה יותר.

GHF הישראלית מעפולה, ששמה לקוח מאגדת הילדים "פרח לב הזהב" (מאת שלמה זלמן אריאל), הוקמה ב-2020 על ידי משפחת שניידר, לאחר שאם המשפחה אובחנה כחולה במחלה. המשפחה שמה לה למטרה למצוא פתרון לאנשים הסובלים מהמחלה, שהינה אחת מתוך קבוצת מחלות הנקראת מחלות "אגירת גליקוגן" - כולן מחלות נדירות.

בתחילת שנת 2021, חתמה חברת GHF על הסכם בלעדיות גלובלי עם הדסית שרותי מחקר רפואי ופיתוח בע"מ ורמות בע"מ, חברת המסחר של אוניברסיטת תל אביב, למחקר ולהפצה של מספר תרכובות ובכלל זה GHF-201 אשר הינן תוצאה של מחקר ארוך של החוקרים דר אור כחלון מהדסה עין כרם ופרופ מיגל וייל מאוניברסיטת תל אביב.

לאור מנגנון הפעולה הייחודי של GHF-201 ותוצאות מעודדות במחקרים מעבדתיים, החברה גם מרחיבה פעילותה תוך שהיא בוחנת פיתוח פתרונות גם למחלות אגירה ליזוזומליות וכן להתוויות נוספות עם שכיחות גבוהה יותר באוכלוסייה.

כאמור, החברה עמלה על פיתוח התרופה בשנים האחרונות ובעת הגיעה לנקודת ציון משמעותית: ה-FDA העניק לטיפול אותו פיתחה (רשום בשם המסחרי GHF-201) מעמד של תרופה יתומה, סטטוס שניתן על מנת לתמרץ פיתוח של תרופות למחלות נדירות מאוד ששכיחותן נמוכה מ-200,000 חולים בארה"ב ושאפשרויות הטיפול בהן מוגבלות. מעמד זה מעניק לחברה בלעדיות שיווק של 7 שנים ממועד קבלת אישור שיווק התרופה.

מזה למעלה משנתיים נערכת במרכז רפואי הדסה עין כרם תוכנית "טיפול חמלה דחוף" בתרופה GHF-201, תחת ניהולו של פרופ' אלכסנדר לוסוס ומתאמת המחקר הגברת ענת מרדכי, ובאישור חריג של משרד הבריאות, למתן הטיפול ל-3 חולי APBD. התוצאות עד כה, הן הקלינית והן המעבדתית, נמצאו מעודדות.

"אנחנו נרגשים לזכות בהכרה של ה-FDA בעצם הקניית מעמד תרופת יתום. זוהי אבן דרך חשובה עבור החברה בתהליך הפיתוח של תרופת GHF-201 ומהווה תקווה לאנשים החיים עם המחלה הקשה הזו. נרצה להביע תודה לשותפינו במרכז הרפואי הדסה עין כרם, אוניברסיטת תל אביב ולחברת LDS-Biotech (Lyotropic Delivery Systems), אשר תמכו בהגשת הבקשה למעמד תרופת יתום. לעמותת החולים האמריקאית-APBD-RF ולעמותת מפנה הישראלית, וכן למשקיעים שלנו, אשר ללא תמיכתם, כל זה לא היה אפשרי", אומר יניב גלזר, מנכ"ל GHF. "עם ההבנה ההולכת ומצטברת לגבי מנגנון הפעולה של מבנה התרופה שלנו, נמשיך בתהליך הפיתוח ובמקביל גם לחקור את השימוש שלה במחלות נוספות".