



Publicado em 25/09/2025 - 10:15

Doença de Huntington é tratada pela primeira vez na história com sucesso em estudo clínico

Descoberta histórica: terapia genética reduziu em 75% a progressão da doença; pesquisa foi conduzida pela University College London em parceria com a empresa uniQure.

Por Redação g1

A doença de Huntington, uma condição neurodegenerativa rara, mas cruel e devastadora, foi tratada com sucesso pela primeira vez.

A informação foi antecipada pela BBC e confirmada pelo g1 nesta quarta-feira (24), após a divulgação oficial dos dados da pesquisa conduzida pela University College London (UCL) em parceria com a empresa holandesa uniQure, responsável pelo desenvolvimento da terapia genética.

De acordo com o comunicado, pacientes que receberam doses altas da terapia experimental AMT-130 tiveram uma redução de 75% na progressão da doença em três anos. Na prática, isso significa que o avanço esperado para um ano levou quatro anos para acontecer, o que pode representar décadas a mais de qualidade de vida para os pacientes.

O que mostrou o estudo

O ensaio clínico de fase I/II acompanhou 29 pacientes em estágio inicial da doença. Eles receberam uma única aplicação da terapia durante cirurgia neurológica de até 18 horas.

Após três anos, os resultados indicaram que:

-
- O avanço dos sintomas caiu em média 75% — medido pela escala clínica composta (cUHDS).

- Houve 60% menos perda de habilidades funcionais do dia a dia, como andar e falar — avaliado pela escala de capacidade funcional total (TFC).
- Os pacientes apresentaram melhora em memória e raciocínio — segundo testes cognitivos como Stroop e SDMT.
- Exames mostraram menor sinal de morte de células cerebrais, com queda de 8,2% no biomarcador NfL do líquido.

“Esses dados indicam que o AMT-130 tem o potencial de retardar significativamente a progressão da doença – oferecendo a tão esperada esperança a indivíduos e famílias”, diz a neurologista Sarah Tabrizi, diretora do Centro de Doença de Huntington da UCL e investigadora principal do estudo, em comunicado da uniQure.

Em termos de efeitos colaterais, o tratamento foi considerado bem tolerado. Os efeitos adversos mais comuns estavam ligados ao procedimento cirúrgico de administração e foram resolvidos. Desde dezembro de 2022, não houve novos eventos graves relacionados ao medicamento.

Próximos passos

A uniQure informou que pretende protocolar um pedido de registro (BLA) junto à Food and Drug Administration (FDA), agência reguladora dos Estados Unidos, no primeiro trimestre de 2026. Caso aprovado, o medicamento poderia chegar ao mercado americano ainda no mesmo ano.

A terapia já recebeu da FDA as designações de Terapia Inovadora e de Medicina Regenerativa Avançada, mecanismos que aceleram processos regulatórios em condições graves e sem alternativas de tratamento.

O que é a doença de Huntington

A doença de Huntington é causada por uma mutação no gene da huntingtina, que leva à produção de uma proteína tóxica para os neurônios. A condição provoca perda progressiva de funções motoras, cognitivas e comportamentais, resultando em dependência e morte, geralmente em até 20 anos após o início dos sintomas.

Estima-se que cerca de 75 mil pessoas convivam com a doença nos Estados Unidos, Europa e Reino Unido, enquanto centenas de milhares carregam a mutação genética e poderão desenvolvê-la no futuro.

Atualmente, não há tratamentos aprovados que retardem ou interrompam o avanço da enfermidade — apenas terapias para controle de sintomas.

A situação no Brasil

No Brasil, não há estatísticas oficiais consolidadas sobre a prevalência da doença de Huntington. Estimativas citadas pelo Ministério da Saúde e pela Associação Brasil Huntington apontam que entre 13 mil e 19 mil pessoas podem ter o gene mutante que causa a doença, enquanto outras 65 mil a 95 mil estariam em risco de desenvolvê-la.

Dados do Ministério da Saúde indicam, ainda, que entre 1996 e 2015 foram registrados 801 óbitos relacionados à doença no Brasil, mais da metade deles na região Sudeste, especialmente em São Paulo.

Apesar de rara, a condição é reconhecida pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, criada em 2014.

No entanto, o Sistema Único de Saúde (SUS) ainda não disponibiliza medicamentos específicos para retardar sua progressão. Hoje, os tratamentos disponíveis são apenas para aliviar sintomas, como os movimentos involuntários e alterações de comportamento.

<https://g1.globo.com/saude/noticia/2025/09/24/doenca-de-huntington-e-tratada-pela-primeira-vez-na-historia-com-sucesso-em-estudo-clinico.ghtml>

Veículo: Online -> Portal -> Portal G1