

עוד על תוצאות מחקר ה "כוכבים" והסיפורים שמאחורי הנתונים

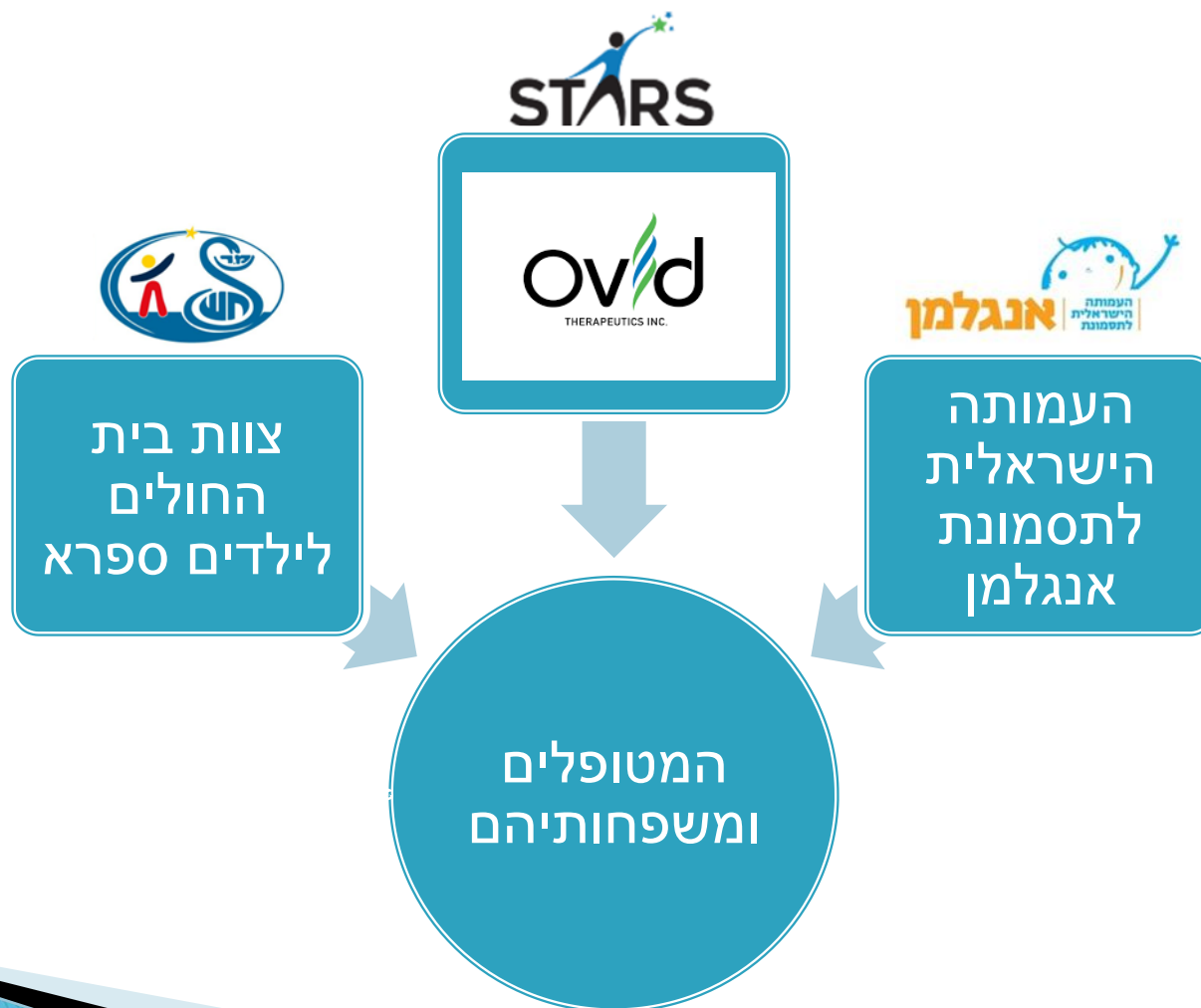


ד"ר גלי חבצלת-היימר,
מנהלת מרפאת האנגלמן,
היחידה לנורולוגיה של הילד,
בית החולים ספרא לילדים,
המרכז הרפואי המשולב שיבא

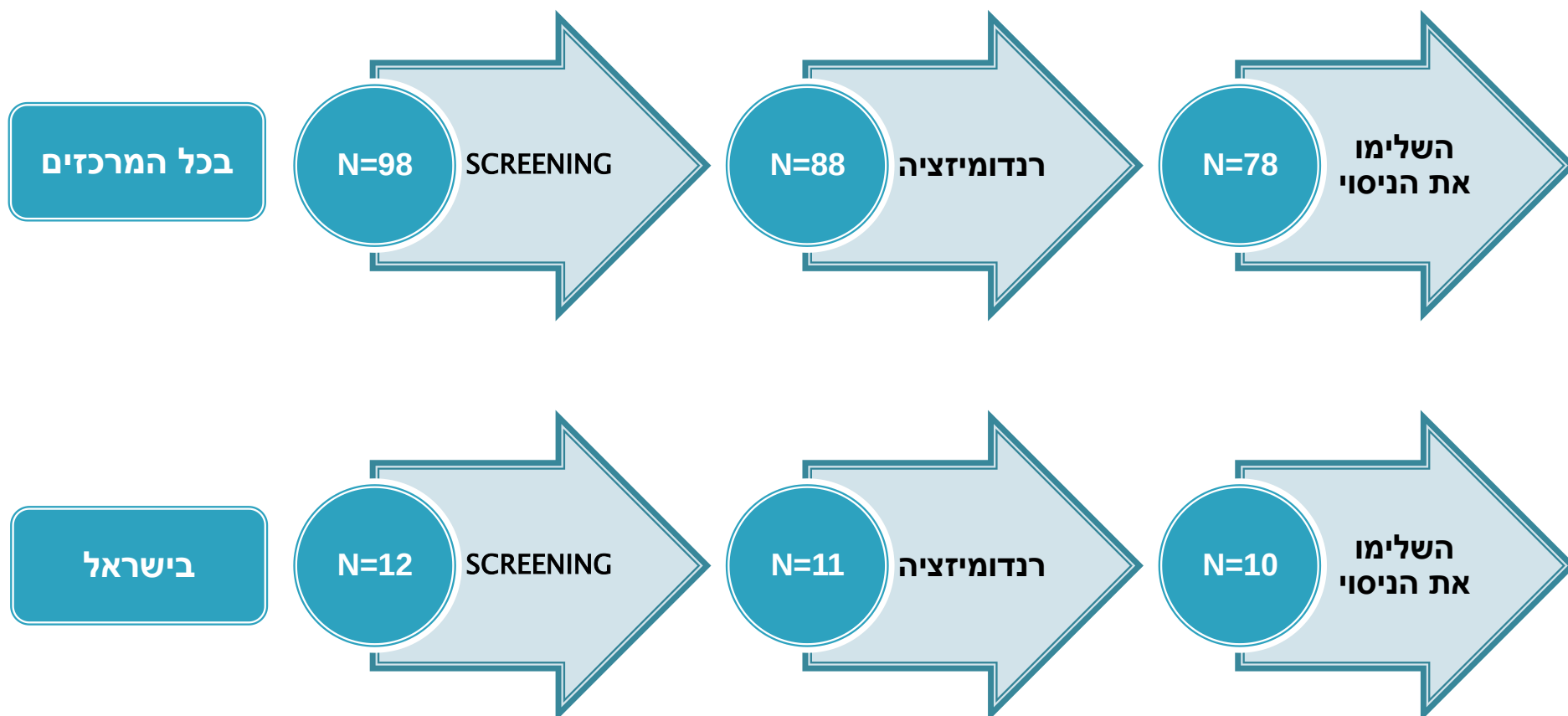
כנס משפחות תסמונת אנגלמן
המרכז הרפואי המשולב שיבא,

29/11/2018

נתחיל בתודות...



נתוני הגיוס בישראל



הבטיחות קודמת לכל...

תופעות הלוואי אשר נצפו בשכיחות מוגברת בקבוצת הטיפול ביחס לקבוצת הפלצבו היו: חום, פריחה, מחלה ויראלית, דלקת אוזניים, בריחת שתן, קפיצות מיוקלוניות ופרכוסים.

רק ב- 2 מטופלים דווחה החמרה בתדירות / עוצמת הפרכוסים הרגילה, באחד סווג כ"לא קשור" לתרופה ובשני כ"אולי קשור"

רק 4 מטופלים פרשו בשל תופעות לוואי מתוכם:

1 - היה על פלצבו

3 - היו על מינון דו יומי של התרופה

מהו ה- CGI?

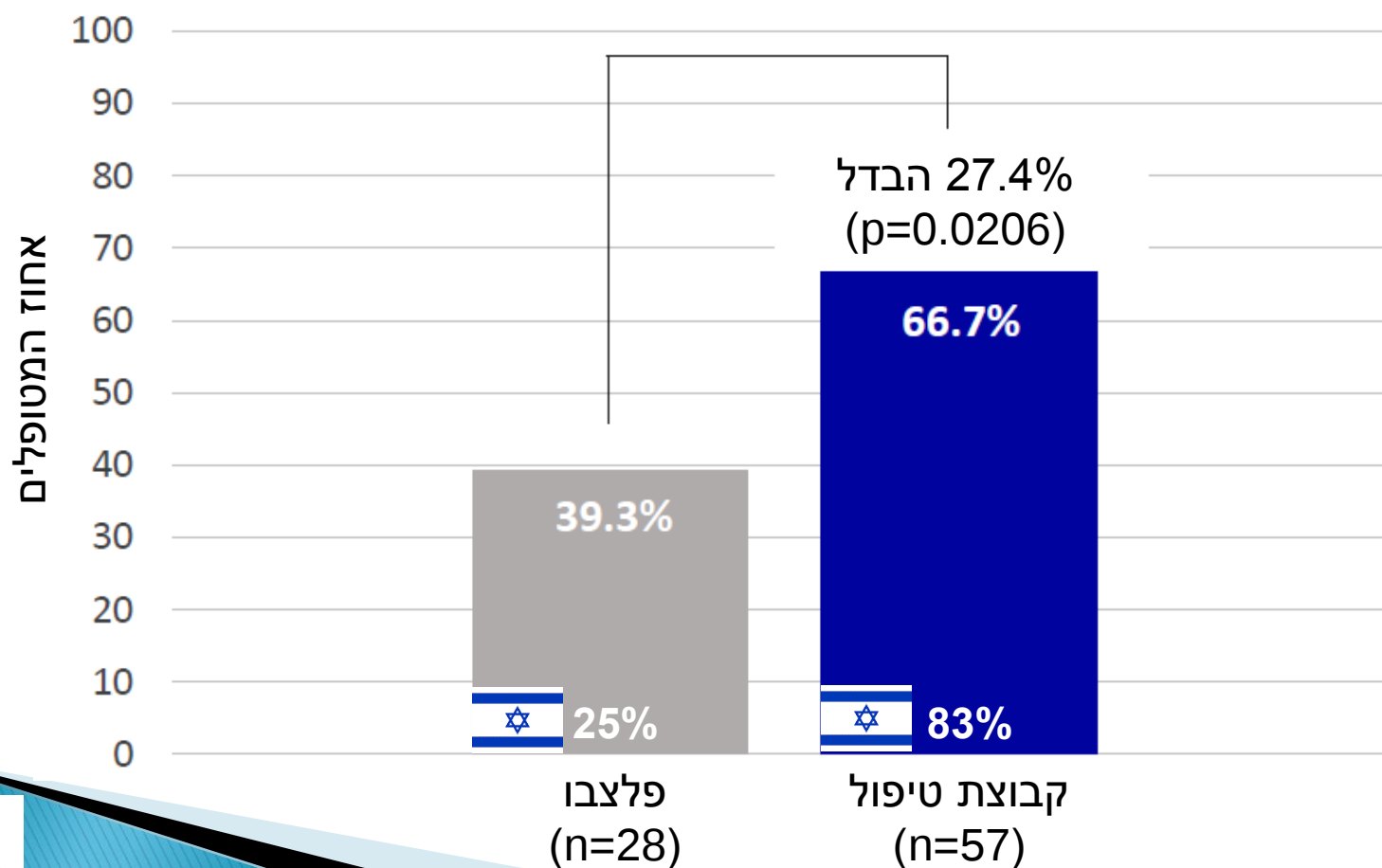


מהו ה- CGI?



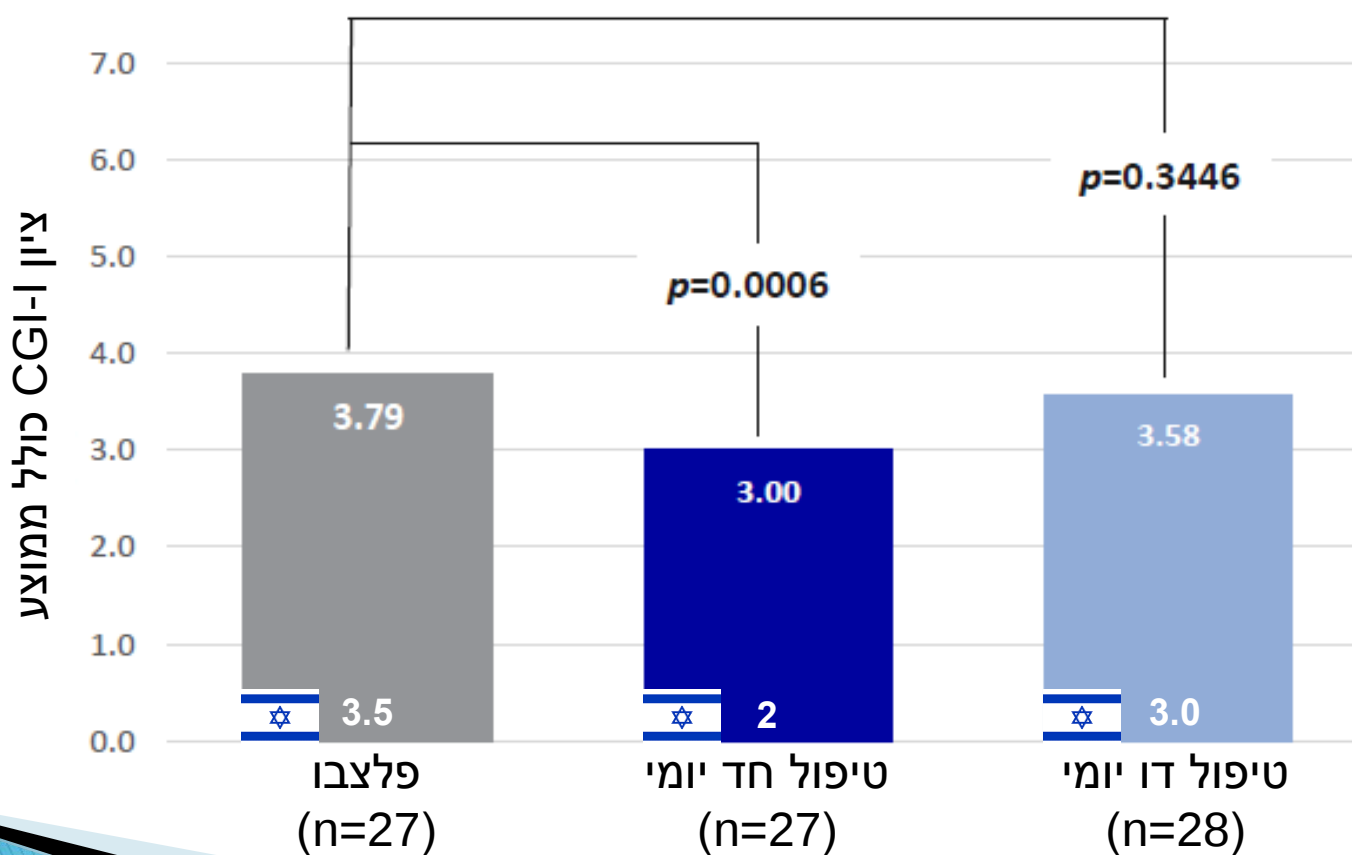
OV101 הביא לשיפור מובהק בתפקוד הכללי

שיפור ב CGI- הכללי או בתת סעיפיו בשבוע 12 ביחס לביקור הבסיס

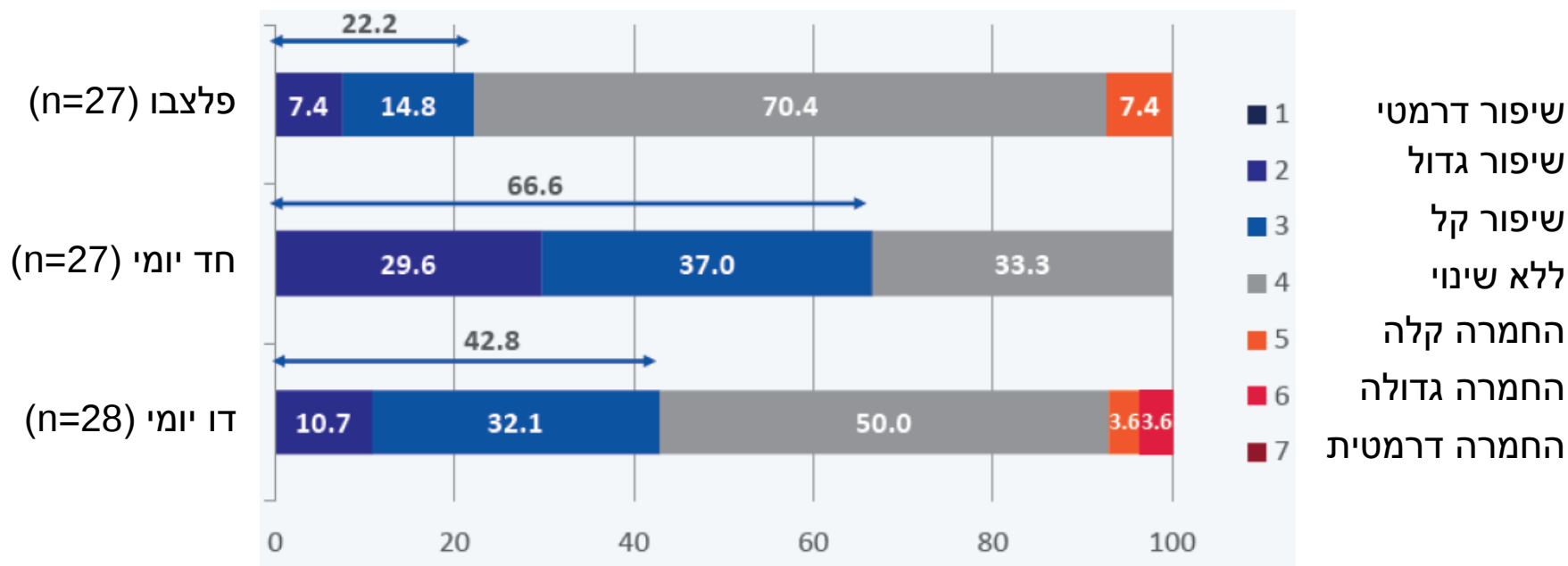


הטיפול החד יומי נמצא יעיל יותר באופן מובהק ביחס לדו יומי

ציון CGI-כולל ממוצע בשבוע 12 לטיפול



הטיפול החד יומי נמצא יעיל יותר באופן מובהק ביחס לדו יומי



אחוז מטופלים בכל אחת מקבוצות ה-CGI-I

מדדים נוספים בהם נמצא שיפור - שינה

$P=0.0141$

• נמצא שיפור מובהק בציון CGI-I של השינה בשבוע 12 בקבוצת הטיפול החד יומי ביחס לפלצבו

$P=0.0147$

• נמצא קיצור מובהק של משך ההירדמות ב 25 דק' בקבוצת הטיפול בחד יומי ביחס לפלצבו

$\text{Diff}=3.65\%$

• נמצאה ירידה בשנת היום ב 50 דק' ושיפור איכות השינה בלילה בקבוצת הטיפול החד יומי ביחס לפלצבו

מדדים נוספים בהם נמצא שיפור - מוטוריקה

$P=0.0889$

$P=0.0522$

• לפי הביילי נמצא שיפור בציון המוטורי הכללי ובציון המוטוריקה הגסה בשבוע 12 בקבוצת הטיפול בחד יומי ביחס לפלצבו

$P=0.0935$

• נמצא שיפור בציון המוטורי לפי ה- PEDICAT בקבוצת הטיפול החד יומי ביחס לפלצבו

$P=0.0704$

• נמצא שיפור באינדקס המוגבלות לפי שאלון ה- CHAQ בקבוצת הטיפול החד יומי ביחס לפלצבו

$P=0.0340$

$P=0.0406$

• לפי מעבדת ההליכה נמצאה ירידה בגודל הצעד הממוצע ובמהירות ההליכה בקבוצת הטיפול החד יומי ביחס לפלצבו

מדדים נוספים בהם נמצא שיפור - התנהגות

שאלון ה PGI מצא שיפור בתחומי
התקשורת, הפרעות התנהגות וחרדה
בחולים אשר השתפרו לפי ה CGI-I

דוגמאות לשיפור בשינה

"נרדם
בקלות
כאשר
מתעורר
בלילה"

פחות
יקיצות
בלילה

"שינה חזקה
יותר ולא
מתעורר
מכל רעש
קטן"

"נרדם מהר
יותר בערב"

"פחות
ניקורים
במשך היום"

"לא מתעורר
מוקדם
בבוקר אלא
רק
כשמעירים
אותו"

"גם אם ישן
בצהריים
הדבר לא
מפריע
לשנת
הלילה"



דוגמאות לשיפור במוטוריקה גסה



דוגמאות לשיפור במוטוריקה גסה

"האם אפשר לשייך זאת לניסוי?
מבחינתנו זה ממש פלא..."



דוגמאות לשיפור במוטוריקה עדינה

"מצליח
במטלות עם
חפצים קטנים
שלא הצליח
לבצע בעבר"

שיפור בתפיסת
הפינצטה

"פחות מלכלך
תוך כדי
האכילה"

"שיפור
בהורדת
הבגדים"

"מצליח לגרוב
גרביים"



דוגמאות לשיפור באיריטאביליות



דוגמאות לשיפור בסטריאוטיפיות ובחרדה



דוגמאות לשיפור בהיפראקטיביות

"מצליח לשבת
בשקט גם
בפעילויות
שלא מעניינות
אותו"

"יושב
בפעילות
במשך חצי
שעה בלי
לקום במקום
10-15 דק'
לפני כן"

"מצליח לשבת
חצי שעה
ברצף בעבודה
עם הטבלט"

יותר רגוע,
פחות
היפראקטיבי
ואימפולסיבי

מצליח
להתרכז יותר
טוב במשימה

"מצליח לשבת
בשקט
בארוחת שישי
בערב"

"שם יותר
גבולות
בהעמסה על
הצלחת"

"מסוגל לדחות
סיפוקים -
לדפוק על
הדלת ולחכות
שיפתחו ולא
להיכנס מיד"



דוגמאות לשיפור בתקשורת

ממלא הוראות
- "קח את
הצלחת
שלך", "קום
אתה צריך
להתלבש"

רושם שהיה
"מסך ערפל
שהוסר"

"מבט יותר
צלול ומבין
יותר בעיניים"

שיפור בקשר
עין

"פונה
למדריכים
נוספים
במסגרת ולא
רק למדריך
האישי"

יותר קשוב
וממוקד

"יותר אקטיבי
ומשתף
פעולה במרכז
היום"



מילים מלאות
במקום חלקי
מילים

יותר מילים
ברצף

יותר ווקליזציה

"יושב יותר זמן
עם חברים ולא
לבד"

מטופל שכאשר
שאלו אותו
לאחר הופעה
כמה נהנה מ- 1
10 ענה 11 ...

מטופלת שאמרה
"גלי" פעם
ראשונה תחת
התרופה

היגוי מדויק יותר
של מילים -
"אמא" במקום
"מה", "כן"
במקום "כ"

לסיכום

חשיבות רבה לתכנון נכון של הניסוי

צורך במציאת אמצעי הערכה מותאמים לתסמונת

OV101 נמצא בטוח לשימוש בחולי אנגלמן בגילאי
13-49 שנים

מנה חד יומית לפני השינה נמצאה יעילה יותר מטיפול
פעמיים ביום

OV101 הביא לשיפור משמעותי באיכות החיים של
מטופלי תסמונת אנגלמן אשר יהיה רלוונטי גם בנוכחות
טיפולים עתידיים

