

## أوديبارسيل - Odiparcil

هو مستحضر تجريبي جديد يسهل إزالة الغليكوز أمينوغليكانات لعلاج مرض عديدات السكاريدات المخاطي بأنواعه 1، 2، 4، 6 و 7.

إن أوديبارسيل Odiparcil هو جزيء صغير حاليا في مرحلة التطوير السريري من قبل شركة **انفنتيفا فلرما** - Inventiva Pharma.

ويتميز أوديبارسيل بقدرته على الالتحام بشكلين من الغليكوز أمينوغليكانات (glycosaminoglycans- GAGs) المتمركزة في خلايا المصابين بمرض عديدات السكاريدات المخاطي (Mucopolysaccharidosis – MPS)، وبالتالي يصبح الغليكوز أمينوغليكانات الملتحم بأوديبارسيل أكثر قابلية للذوبان وبالتالي التمكن من نقل الغليكوز أمينوغليكانات إلى خارج الخلية فيتم التخلص منه بعد ذلك عن طريق المسار البولي.

وبما أن تراكم الغليكوز أمينوغليكانات هو الذي يتسبب في الأعراض السريرية للمصابين بمرض عديدات السكاريدات المخاطي، فإن شركة **انفنتيفا فلرما** تعتقد أنه بفضل هذه الطريقة للتخلص من مكون الغليكوز أمينوغليكانات يصبح أوديبارسيل قادرا على المساعدة من تخفيف حدة العديد من الأعراض السريرية. وعلى سبيل المثال فقد أظهرت الدراسات التي أجرتها شركة **انفنتيفا فلرما** على الحيوانات قبل التجارب السريرية بأن أوديبارسيل يستطيع أن يقلل من سماكة غضروف الركبة لدى الفئران المصابة بمرض عديدات السكاريدات المخاطي من النوع السادس، مما يساهم بالتالي من رفع قدرة الحيوانات على الحركة. كما تمت ملاحظة التأثير نفسه على قصباتها الهوائية. كما تمكن مستحضر أوديبارسيل أيضا من إستعادة هيكل القرنية إلى حالته الطبيعية لدى الفئران المصابة بنفس المرض.

أما أنواع الغليكوز أمينوغليكانات التي يمكن علاجها فهي كبريتات الديرمتان (dermatan sulfate - DS) وكبريتات الكوندريتين (chondroitin sulfate - CS)، وبدرجة أقل بكثير كبريتات الهيباران (heparan sulfate - HS).

وتعتقد شركة **انفنتيفا فلرما** أن كافة حالات مرض عديدات السكاريدات المخاطي الناجمة عن الغليكوز أمينوغليكانات يمكنها الاستفادة من العلاج بمستحضر أوديبارسيل.

إن أوديبارسيل كجزيء صغير قادر على التوزع بشكل جيد جدا في كامل الجسم، بما في ذلك الأجهزة التي لا يتم الوصول إليها من خلال العلاج التعويضي بالإنزيمات (enzyme replacement therapy - ERT)، مثل العيون وغضروف الركبة كما ذكرنا أعلاه، إلا إن أوديبارسيل ليس بإمكانه اجتياز الحاجز الدموي الدماغي، وبالتالي فإنه من المحتمل ألا يكون فعالا في الأعراض الناتجة عن إصابة الدماغ. وبسبب حجمه الصغير فيمكن تناوله أكلا.

وبالرغم من أن مستحضر أوديبارسيل هو علاج جديد في طور التجربة على المصابين بمرض عديدات السكاريدات المخاطي، فقد تم بالفعل إعطاء الجزيء لكثير من المتطوعين الأصحاء و أيضا لمرضى كانوا قد خضعوا لدراسات سريرية سابقة لمرض آخر، وقد تم تحمل العلاج بأوديبارسيل بشكل جيد.

سيكون النوع السادس من أمراض عديدات السكاريدات المخاطي أول مرض من أجله سيتم تطوير مستحضر أوديبارسيل. ففي الوقت الحاضر يتم إجراء المرحلة الثانية (أ) من الدراسة على المرضى البالغين المصابين بمرض عديدات السكاريدات المخاطي في مراكز تجارب في أوروبا، علما بأنه بإمكان المرضى من أي مكان في العالم المشاركة في هذه التجارب.



وستتولى مؤسسة "إم بي إس كمرشال" (MPS Commercial)، الذراع التجاري لجمعية المرضى بعديدات السكريدات المخاطي البريطانية (MPS Society, UK) ترتيب سفر المرضى للمشاركة في هذه التجارب. وسيتمكن كلا من المرضى الذين يتناولون حالياً العلاج التعويضي بالإنزيمات (ERT) والمرضى الذين لا يتناولونه من المشاركة في هذه التجارب.

للحصول على معلومات إضافية حول هذه التجربة الرجاء زيارة الموقع التالي :

<http://www.improves-mps-vi-trial.com>

أو من خلال التواصل معنا عن طريق البريد الإلكتروني على العنوان التالي:

[iMProveS@inventivapharma.com](mailto:iMProveS@inventivapharma.com)

وكخطوة تالية، تعكف حالياً شركة **إنفنتيفا فارما** على الإعداد لخوض بحث سريري من المرحلة الأولى (ب) للأطفال من سن الخامسة فما فوق والمصابين بمرض عديدات السكريدات المخاطي من النوع السادس، والذين يتناولون العلاج التعويضي بالإنزيمات (ERT). ومرة أخرى، وستكون التجربة أوروبية إلا أنه من الممكن للمرضى من جميع أنحاء العالم المشاركة فيها.

علماً بأنه لم يتم فتح المجال للمشاركة في البحث السريري بعد ولكن يمكن للراغبين في اطلاع على مستجدات هذه التجارب مراسلتنا عبر البريد الإلكتروني على العنوان التالي:

[SAFE-KIDDS@inventivapharma.com](mailto:SAFE-KIDDS@inventivapharma.com)

سيتمين أولاً على شركة **إنفنتيفا فارما** أن تقوم بجمع البيانات السريرية للمرضى المصابين بمرض عديدات السكريدات المخاطي من النوع السادس قبل التوسع في الأنواع الأخرى لهذا المرض. ولكن، إذا كنت أحد المرضى المصابين بمرض عديدات السكريدات المخاطي من النوع 1، 2، 4، 6 أو 7، وترغب في البقاء على تواصل معنا بخصوص أي تجارب مستقبلية أو كانت لديك أي أسئلة عنها فلا تتردد في الاتصال بنا على أي من عناوين البريد الإلكتروني المذكورة أعلاه.