



Odiparcil

Uma nova terapia investigativa de eliminação GAG para Mucopolissacaridose I, II, IVA, VI e VII

Odiparcil é uma pequena molécula em desenvolvimento clínico pela Inventiva Pharma. Odiparcil tem a capacidade de se ligar a dois tipos de glicosaminoglicanos (GAGs) que se acumulam nas células dos pacientes com MPS. Estes GAGs ligam-se ao Odiparcil tornam-se mais solúveis e podem ser transportadas para fora da célula e são eliminadas na urina.

Como a acumulação de GAGs causam sintomas clínicos em pacientes com MPS, a Inventiva acredita que através da eliminação dos GAGs, o odiparcil pode ajudar a reduzir a gravidade de muitos sintomas clínicos. Em estudos pré-clínicos em animais, a Inventiva mostrou por exemplo, que o Odiparcil pode reduzir a espessura da cartilagem no joelho em murganhos com MPS VI, levando ao aumento da mobilidade destes animais. O mesmo efeito foi observado na traqueia. Além disso, o Odiparcil restaurou a estrutura da córnea de murganhos com MPS VI, para o seu estado normal.

Os GAGs que podem ser eliminados são o dermatan sulfato (DS) e o ácido condroitinossulfúrico (CS) e em menor escala também o heparan sulfato (HS). A Inventiva acredita que todas as condições de MPS onde estes GAGs estejam envolvidos, podem beneficiar do tratamento com Odiparcil.

O Odiparcil é uma pequena molécula e, como tal, tem uma muito boa distribuição no corpo, incluindo órgãos não alcançáveis pela terapia de reposição enzimática (ERT), como por exemplo, o olho e a cartilagem, como referido acima. Contudo, o Odiparcil não é capaz de atravessar a barreira hematoencefálica (BHE) não estando assim previsto funcionar no cérebro. Além disso, devido ao seu pequeno tamanho, o Odiparcil pode ser administrado oralmente.

Enquanto que o Odiparcil é uma terapia investigativa nova em MPS, a molécula já foi administrada em muitos voluntários saudáveis e pacientes em estudos clínicos prévios, para outras indicações. O Odiparcil foi bem tolerado.

O primeiro tipo de MPS para o qual o Odiparcil irá ser desenvolvido é o MPS VI. Está a decorrer um estudo fase IIa em pacientes adultos com MPS VI em centros de ensaio na Europa, mas pacientes de qualquer parte do mundo podem participar. A viagem será organizada pela MPS Commercial, o braço comercial da MPS Society (UK), que irá acolher bem os pacientes participantes. Tanto os pacientes que estão neste momento a tomar ERT como os que não estão a tomar ERT, podem participar. Pode encontrar informações sobre o ensaio nesta página web <http://www.improves-mpsvi-trial.com> ou contactando-nos através do seguinte endereço: iMProveS@inventivapharma.com.

Como próximo passo, a Inventiva está a preparar um ensaio fase Ib em crianças com MPS VI, com 5 anos de idade ou mais, que estão a tomar ERT. Mais uma vez, o ensaio será europeu mas podem participar pacientes de qualquer parte do mundo. O ensaio ainda não abriu, mas se quiser manter-se informado sobre o progresso, envie-nos um email para SAFE-KIDDS@inventivapharma.com.

A Inventiva necessita primeiro de recolher dados clínicos dos pacientes com MPS VI antes de alargar o foco do paciente para incluir outras indicações de MPS. Contudo, se é um paciente com MPS I, II, IVA, VI ou VII e pretender manter-se informado relativamente a ensaios futuros, ou tiver alguma questão, contacte-nos através de qualquer um dos e-mails anteriores.