



Odiparcil

Mukopolisakaridaz I, II, IVA, VI ve VII GAG klerans terapisinde kullanılmak üzere keşfedilmiş yeni bir ilaç

Odiparcil Inventiva Pharma tarafından klinik gelişimde olan küçük bir moleküldür. Odiparcil MPS hastasının hücrelerinde biriken iki tip glikosaminoglikana(GAG) bağlanabilmektedir. Odiparcil'e bağlanan bu GAG'lar daha fazla çözünürlük kazanır ve hücre dışına taşınır ve idrar yoluyla eliminasyonu sağlar.

GAG'ların birikimi MPS hastalarında klinik semptomlara sebep olmaktadır, Inventiva Odiparcil'in GAG muhteviyatını azaltarak birçok klinik semptomların şiddetinin hafifleteceğine inanmaktadır. Örneğin, Inventiva hayvanlar üzerinde yapılan prelinik çalışmalar Odiparcil'in MPS VI olan bir farenin dizinde bulunan kırıkta incelmeye yol açtığını ve bunun da hayvanın hareket kabiliyetinde artışa yol açtığını göstermektedir. Aynı etki trakeada da görülmüştür. Bunlara ek olarak Odiparcil MPS VI olan bir farenin korneasını restore etmiş ve normal haline dönüştürmüştür.

Temizlenebilecek bu GAG'lar dermatan sülfat (DS) ve kondroitin sülfat (CS) olmakla beraber az oranda da olsa heparan sülfatdan (HS) oluşmaktadır. Inventiva bu GAG'ların bulunduğu bütün MPS rahatsızlıklarının Odiparcil'le tedaviden fayda göreceğine inanmaktadır.

Yukarıda belirtilen göz ve kırıkta örneğinde olduğu gibi enzim replasman tedavisinin (ERT) ulaşmadığı organlar da dahil olmak üzere, Odiparcil küçük bir molekül olmakla beraber vücutta çok iyi bir dağılımı söz konusudur. Bununla beraber Odiparcil kan-beyin bariyerini (KBB) aşmamaktadır ve bundan dolayı da beyinde işlev görmesi beklenmemektedir. Ayrıca Odiparcil küçük olduğu için ağız yoluyla da alınabilir.

Odiparcil MPS terapisinde yeni keşfedilmiş bir ilaç olmakla beraber daha önce yapılan klinik çalışmalarda başka bir indikasyon amacıyla bu molekül bir çok sağlıklı gönüllüye ve hastaya verilmiştir. Bu çalışmalarda Odiparcil'in iyi tolera edildiği görülmüştür.

Odiparcil'in geliştirileceği ilk MPS türü MPS VI olacaktır. Yetişkin MPS VI hastaları üzerinde Avrupa'daki deney merkezlerinde IIa aşama çalışmaları süregelenmektedir, ama Dünya'nın her yerinden hastalar bu deneylere katılabilirler. Onların seyahatleri MPS Society (UK) nin ticari kolu olan MPS Commercial tarafından organize edilecektir ve onlar katılımcı hastalara gereken desteği sağlayacaklardır. Hali hazırda ERT terapisini gören hastalar da ERT terapisini görmeyen hastalarda bu çalışmaya katılabilirler. Bu çalışmalar hakkında bilgilere <http://www.improves-mpsvi-trial.com> web sitesi üzerinden ulaşabilirsiniz veya bizimle imProveS@inventivapharma.com üzerinden irtibat kurabilirsiniz.

Bir sonraki adım olarak Inventiva ERT terapisini gören MPS VI olan 5 yaş ve üstü çocuklarla ilgili bir deney aşaması olan Ib ye hazırlanmaktadır. Yine bu Avrupa'da yapılan bir deney olmakla beraber Dünya'nın her tarafından hastalar katılabilirler. Bu çalışma henüz başlamadı ama bu deneyle ilgili gelişmeler hakkında bilgi edinmek isterseniz lütfen bizimle SAFE-KIDDS@inventivapharma.com e-posta adresiyle irtibat kurun.

Inventiva hasta odak alanını diğer MPS indikasyonları alanına genişletmeden önce MPS VI hastaları hakkında klinikal verileri toplaması gerekmektedir. Bununla beraber eğer siz MPS I, II, IVA, VI veya VII hastası iseniz gelecekte yapılacak deneyler hakkında bizimle irtibatta bulunmak isterseniz veya herhangi bir sorunuz varsa yukarıda belirtilen e-posta adreslerinden herhangi birisi ile bizimle irtibat kurmaktan çekinmeyin.