



Odiparcil

Tiriama nauja GAG šalinimo terapija I, II, IVA, VI ir VII tipo mukopolisacharidozei gydyti

„Odiparcil“ yra bendrovės „Inventiva Pharma“ kliniškai kuriama smulki molekulė. „Odiparcil“ gali prisijungti prie MPS sergančių lignonų ląstelėse besikaupiančių dviejų tipų glikozaminglikanų (GAG). Susijungę su „Odiparcil“ šie GAG tampa tirpesni ir gali būti transportuojami iš ląstelės bei pašalinami su šlapimu.

Kadangi MPS sergančių lignonų klinikinius simptomus sukelia GAG kaupimasis, bendrovės „Inventiva“ nuomone, mažindamas GAG kiekį „Odiparcil“ gali palengvinti daugelį klinikinių simptomų. Pavyzdžiui, ikiklinikinių tyrimų su gyvūnais metu „Inventiva“ pademonstravo, kad „Odiparcil“ gali sumažinti VI tipo MPS sergančių pelių kelių kremzlės storį, todėl padidėja gyvūnų mobilumas. Tas pats poveikis stebėtas ir trachėjoje. Be to, „Odiparcil“ atkūrė VI tipo MPS sergančių pelių ragenos normalią struktūrą.

GAG, kurie gali būti šalinami, yra dermatano sulfatas (DS) ir chondroitino sulfatas (CS), taip pat gali būti šalinami kur kas mažesni heparano sulfato (HS) kiekiai. Bendrovės „Inventiva“ nuomone, gydant „Odiparcil“ gali pagerėti visa šių GAG nulemta MPS sergančių lignonų būklė.

„Odiparcil“ molekulė yra smulki, todėl labai gerai pasiskirsto organizme, įskaitant organus, kurių neveikia pakaitinė fermentų terapija (PFT), pavyzdžiui, akis ir kremzles, kaip minėta pirmiau. Vis dėlto „Odiparcil“ negali pereiti kraujo–smegenų barjero (KSB), todėl neturi poveikio smegenims. Dėl mažo dydžio „Odiparcil“ galima vartoti per burną.

Nors „Odiparcil“ yra nauja tiriama MPS terapija, dėl kitų ankstesnių klinikinių tyrimų metu šių molekulių dėl kitų indikacijų jau vartojo daug sveikų savanorių ir pacientų. „Odiparcil“ buvo gerai toleruojamas.

Pirmasis MPS tipas, kuriam bus sukurtas „Odiparcil“, yra VI tipo MPS. Europos tyrimų centruose atliekamas VI tipo MPS sergančių suaugusiųjų IIa fazės tyrimas, tačiau gali dalyvauti pacientai iš bet kurios pasaulio vietos. Kelionę organizuos „MPS Society (UK)“ komercinis padalinys „MPS Commercial“, kuris tinkamai pasirūpins tyrime dalyvaujančiais pacientais. Pacientai gali dalyvauti nepriklausomai nuo to, ar jiems šiuo metu taikoma, ar netaikoma PFT. Informacija apie tyrimą pateikiama interneto svetainėje <http://www.improves-mps-vi-trial.com>, be to, galite su mumis susisiekti el. pašto adresu IMProveS@inventivapharma.com.

Kaip kitą etapą bendrovė „Inventiva“ ruošia VI tipo MPS sergančių 5 metų ir vyresnių vaikų, kuriems taikoma PFT, I b fazės tyrimą. Vėlgi tyrimas bus atliekamas Europoje ir jame galės dalyvauti pacientai iš viso pasaulio. Šio tyrimo dalyviai dar nerenkami, tačiau jeigu norite būti informuoti apie jo eigą, parašykite mums el. pašto adresu SAFE-KIDDS@inventivapharma.com.

Prieš praplėsdama pacientų ratą kitoms MPS indikacijoms įtraukti, bendrovė „Inventiva“ visų pirma turi sukaupti klinikinių duomenų apie VI tipo MPS sergančius lignonius. Vis dėlto jeigu sergate I, II, IVA, VI arba VII tipo MPS ir norėtumėte būti informuojami apie būsimą tyrimą arba turite bet kokių klausimų, rašykite mums bet kuriuo pirmiau nurodytų el. pašto adresų.