



## Odiparcil

Nova ispitivana terapija za eliminaciju glikozaminoglikana (GAG) kod mukopolisaharidoze tipa I, II, IVA, VI i VII

Odiparcil je mali molekul koji klinički razvija kompanija Inventiva Pharma. Odiparcil je sposoban da veže dva tipa nagomilanih glikozaminoglikana (GAG) u ćelijama pacijenata sa mukopolisaharidozom (MPS). Ovi glikozaminoglikani vezani za odiparcil postaju rastvorljiviji i mogu se transportovati iz ćelije i eliminisati preko urina.

Budući da nagomilavanje GAG uzrokuje kliničke simptome kod pacijenata sa MPS, kompanija Inventiva je mišljenja da bi eliminisanjem sadržaja GAG odiparcil mogao da pomogne da se smanji težina mnogih kliničkih simptoma. U prekliničkim studijama na životinjama Inventiva je, primera radi, pokazala da odiparcil može da smanji debljinu hrskavice u kolenu miševa sa MPS tipa VI, što je za rezultat imalo veću pokretljivost ovih životinja. Isti efekat je uočen i na dušniku. Pored toga, odiparcil je vratio strukturu rožnjače kod miševa sa MPS tipa VI u normalno stanje.

Glikozaminoglikani koje je moguće eliminisati su dermatan sulfat (DS) i hondroitin sulfat (CS), a u mnogo manjoj meri i heparan sulfat (HS). Inventiva smatra da terapija odiparcilom može biti od koristi kod svih MPS stanja u koja su uključeni ovi glikozaminoglikani.

Odiparcil je mali molekul i kao takav ima veoma dobru distribuciju u organizmu, uključujući organe do kojih ne stiže terapija zamene enzima (ERT), na primer oko i hrskavicu, kao što je navedeno iznad. Međutim, odiparcil ne može da probije krvno-moždanu barijeru (eng. blood-brain-barrier, BBB), te se ne očekuje da deluje u mozgu. Takođe, zahvaljujući svojim malim dimenzijama odiparcil može da se uzima oralno.

Iako je odiparcil nova ispitivana terapija za MPS, ovaj molekul su već dobijali mnogi zdravi dobrovoljci i pacijenti u ranijim kliničkim studijama za drugu indikaciju. Odiparcil je bio dobro podnošen.

Prvi tip MPS za koji će odiparcil biti razvijen jeste MPS tipa VI. Studija faze IIa na odraslim pacijentima sa MPS tipa VI sprovodi se u istraživačkim centrima u Evropi, ali u njoj mogu da učestvuju pacijenti iz bilo kog dela sveta. Putovanje će organizovati MPS Commercial, komercijalni ogranak organizacije MPS Society (UK), koja će se dobro starati o pacijentima koji učestvuju. Mogu da učestvuju i pacijenti koji trenutno uzimaju ERT i oni koji ne uzimaju ERT. Informacije o ispitivanju možete pronaći na ovoj veb lokaciji <http://www.improves-mpsvi-trial.com> ili nam se obratite na [iMProveS@inventivapharma.com](mailto:iMProveS@inventivapharma.com).

Kao sledeći korak, kompanija Inventiva priprema ispitivanje faze Ib kod dece sa MPS tipa VI starosti 5 i više godina koja uzimaju ERT. I ovo će biti evropsko ispitivanje, ali mogu da učestvuju pacijenti širom sveta. Ispitivanje još uvek nije otvoreno, ali ako želite da dobijate informacije o napredovanju pošaljite nam e-poruku na adresu [SAFE-KIDDS@inventivapharma.com](mailto:SAFE-KIDDS@inventivapharma.com).

Kompanija Inventiva najpre mora da prikupi kliničke podatke o pacijentima sa MPS tipa VI pre nego što proširi fokus pacijenata da bi uključila druge MPS indikacije. Međutim, ako ste pacijent koji ima MPS tipa I, II, IVA, VI ili VII i želite da se informišete o budućim ispitivanjima ili imate pitanja, slobodno nam se obratite na neku od gorenavedenih adresa e-pošte.