



Odiparcil

Eine neue GAG-Clearance Therapie für Mukopolysaccharidose I, II, IVA, VI und VII

Odiparcil ist ein Wirkstoff, der von Inventiva Pharma entwickelt wird. Odiparcil kann zwei Arten von angesammelten Glykosaminoglykanen (GAGs) in den Zellen von MPS-Patienten binden. Diese durch Odiparcil gebundenen GAGs werden lösbar und können aus der Zelle transportiert und im Urin ausgeschieden werden.

Da die Ansammlung von GAGs die klinischen Symptome bei MPS-Patienten verursacht, ist Inventiva der Ansicht, dass durch das Klären des GAG-Gehalts Odiparcil zur Reduzierung der Schwere vieler klinischer Symptome beitragen kann. In präklinischen Tierstudien zeigte Inventiva zum Beispiel, dass Odiparcil die Knorpeldicke im Knie von MPS VI Mäusen reduzieren kann, welche wiederum zur verbesserten Mobilität der Tiere führt. Die gleiche Wirkung wurde bei der Luftröhre beobachtet. Zusätzlich stellte Odiparcil die Struktur der Hornhaut von MPS VI Mäusen in den normalen Status wieder her.

Die GAGs, welche reduziert werden können, sind Dermatansulfat (DS) und Chondroitinsulfat (CS) und in einem weitaus geringeren Ausmaß auch Heparansulfat (HS). Inventiva ist der Ansicht, dass alle MPS-Krankheiten, die diese GAGs aufweisen, von der Behandlung mit Odiparcil profitieren können.

Odiparcil ist ein kleines Molekül und verteilt sich als solches sehr gut im Körper, auch in den Organen, die durch eine Enzym-Ersatztherapie (ERT) nicht erreicht werden, beispielsweise das Auge und, wie oben erwähnt, die Knorpel. Odiparcil kann jedoch nicht die Blut-Hirn-Schranke (BHS) überwinden und wirkt somit erwartungsgemäß nicht im Gehirn. Aufgrund seiner kleinen Größe kann Odiparcil oral eingenommen werden.

Obwohl Odiparcil eine neue, in der Forschung befindliche Therapie bei MPS ist, wurde das Molekül bereits vielen gesunden Probanden und Patienten in vorherigen klinischen Studien in einer anderen Indikation verabreicht. Odiparcil wurde dabei gut vertragen.

Der erste MPS-Typ, für den Odiparcil entwickelt wird, ist MPS VI. Eine Studie der Phase IIa bei erwachsenen MPS VI Patienten läuft in Versuchszentren in Europa, aber Patienten aus aller Welt können teilnehmen. Die Reise wird von MPS Commercial organisiert, der kommerziellen Sparte der MPS Society (UK), die sich gut um die teilnehmenden Patienten kümmern wird. Sowohl Patienten, die sich derzeit einer ERT unterziehen als auch Patienten, die sich keiner ERT unterziehen, können teilnehmen. Informationen zur Untersuchung sind auf folgender Webseite zu finden:

<http://www.improves-mpsvi-trial.com>, oder Sie kontaktieren uns unter iMProveS@inventivapharma.com.

Als nächsten Schritt bereitet Inventiva eine Untersuchung der Phase Ib für MPS VI Kinder vor, die sich einer ERT unterziehen und 5 Jahre und älter sind. Auch hier wird es sich um eine europäische Untersuchung handeln und Patienten aus aller Welt können teilnehmen. Die Studie ist noch nicht eröffnet, aber wenn Sie gerne über den Verlauf informiert werden möchten, schicken Sie uns bitte eine E-Mail an SAFE-KIDDS@inventivapharma.com.

Inventiva muss zunächst klinische Daten von MPS VI Patienten sammeln, bevor der Fokus auf andere MPS-Erkrankungen ausgeweitet werden kann. Wenn Sie jedoch ein MPS I, II, IVA, VI oder VII Patient sind, und bezüglich einer zukünftigen Untersuchung in Kontakt bleiben wollen, oder wenn Sie Fragen haben, kontaktieren Sie uns gerne unter den oben genannten E-Mail-Adressen.