



## Odiparcil

### Nuevo tratamiento experimental de eliminación de GAG para las mucopolisacaridosis I, II, IVA, VI y VII

Odiparcil es una molécula pequeña en desarrollo clínico por parte de Inventiva Pharma. Odiparcil es capaz de unirse a dos tipos de glicosaminoglucanos (GAG) que se acumulan en las células de los pacientes con MPS. La solubilidad de los GAG adheridos a Odiparcil aumenta y se pueden transportar fuera de la célula y eliminar por la orina.

Como la acumulación de GAG provoca los síntomas clínicos de los pacientes con MPS, Inventiva cree que Odiparcil, al eliminar el contenido de GAG, puede ayudar a reducir la gravedad de muchos de ellos. Mediante estudios preclínicos en animales, Inventiva ha demostrado, por ejemplo, que Odiparcil puede reducir el grosor del cartílago de la rodilla en ratones con MPS VI, lo que aumenta su movilidad. Este mismo efecto se ha observado en la tráquea. Además, Odiparcil ha devuelto la estructura de la córnea de ratones con MPS VI a su estado normal.

Los GAG que se pueden eliminar son el dermatán sulfato (DS) y el sulfato de condroitina (CS) y, en mucha menor medida, también el heparán sulfato (HS). Inventiva cree que todas las afecciones de MPS que presentan estos GAG podrán beneficiarse del tratamiento con Odiparcil.

Odiparcil es una molécula pequeña y, como tal, presenta una distribución corporal muy buena, incluidos aquellos órganos a los que no llega la terapia de reemplazo enzimático (ERT), por ejemplo, los ojos y el cartílago, mencionados anteriormente. Sin embargo, Odiparcil no puede cruzar la barrera hematoencefálica (BHE) y, por tanto, no está previsto que actúe en el cerebro. Además, gracias a su tamaño reducido, Odiparcil se puede ingerir por vía oral.

Aunque Odiparcil es un tratamiento experimental nuevo para las MPS, ya se había administrado la molécula a muchos pacientes y voluntarios sanos en estudios clínicos anteriores para otra enfermedad. Odiparcil ha registrado una buena tolerancia.

El primer tipo de MPS para el que se desarrollará Odiparcil es la MPS VI. En la actualidad, se está realizando un estudio de fase IIa en pacientes adultos con MPS VI en centros de pruebas europeos, pero pueden participar pacientes de todo el mundo. MPS Commercial, la rama comercial de MPS Society (UK), organizará el viaje y ofrecerá la mejor atención a los pacientes que participan. Pueden participar tanto los pacientes que reciben en la actualidad ERT como los que no. Podrá encontrar más información sobre el ensayo en este sitio web <http://www.improves-mpsvi-trial.com> o si nos escribe a [iMProveS@inventivapharma.com](mailto:iMProveS@inventivapharma.com).

Para la siguiente etapa, Inventiva está preparando un ensayo de fase Ib en niños con MPS VI que reciben ERT de 5 o más años. De nuevo, la prueba se realizará en Europa y podrán participar pacientes de todo el mundo. El ensayo aún no está disponible, pero si le gustaría recibir información actualizada sobre el progreso, envíenos un correo electrónico a [SAFE-KIDDS@inventivapharma.com](mailto:SAFE-KIDDS@inventivapharma.com).

Inventiva primero necesita recabar datos clínicos sobre los pacientes con MPS VI antes de ampliar el espectro de cara a incluir otras indicaciones de MPS. Sin embargo, si usted es un paciente con MPS I, II, IVA, VI o VII y le gustaría seguir en contacto para futuros ensayos o tiene alguna pregunta, no dude en escribirnos a cualquiera de las direcciones de correo anteriores.