



## Odiparcil

En ny GAG-clearancebehandling på undersökningsstadiet för mukopolysackaridos I, II, IVA, VI and VII

Odiparcil är en liten molekyl under klinisk utveckling av Inventiva Pharma. Odiparcil kan binda till två typer av ackumulerande glykosaminoglykaner (GAG) i cellerna hos MPS-patienter. Dessa odiparcilbundna GAG:er blir mer lösliga och kan transporteras ut ur cellen och elimineras i urinen.

Eftersom de kliniska symptomen hos MPS-patienter orsakas av ackumulering av GAG, tror Inventiva att Odiparcil kan bidra till att minska svårighetsgraden av många kliniska symptom genom att minska halten GAG. I prekliniska djurstudier visade Inventiva till exempel att Odiparcil kan minska tjockleken hos brosk i knäet hos MPS VI-möss, vilket medför ökad rörlighet hos djuren. Samma effekt observerades i luftstrupe. Dessutom återställde Odiparcil hornhinnans struktur hos MPS VI-möss till dess normala tillstånd.

De GAG som kan clearas är dermatansulfat (DS) och kondroitinsulfat (CS) och, i mycket mindre utsträckning, även heparansulfat (HS). Inventiva anser att alla MPS-tillstånd där dessa GAG är inblandade kan förbättras genom behandling med Odiparcil.

Odiparcil är en liten molekyl och fördelas därmed mycket väl i kroppen, även i organ som inte nås genom enzybytebehandling, till exempel öga och brosk, som redan beskrivits. Odiparcil kan emellertid inte korsa blod-hjärnbarriären och förväntas därför inte ha effekt på hjärnan. Eftersom Odiparcil är så liten kan den tas oralt.

Odiparcil är en ny behandling under undersökning för MPS, men molekylen har redan getts till många friska frivilliga och patienter i tidigare kliniska studier för en annan indikation. Odiparcil tolererades väl.

Odiparcil kommer i första hand att utvecklas för MPS VI. En fas IIa-studie hos vuxna MPS VI-patienter pågår i försökscentra i Europa, där patienter från alla delar av världen kan delta. Resan kommer att organiseras av MPS Commercial, den kommersiella delen av the MPS Society (UK), som kommer att ta väl hand om de deltagande patienterna. Såväl patienter som för närvarande tar ERT och patienter som inte tar ERT kan delta. Information om studien hittar du på den här webbsidan <http://www.improves-mpsvi-trial.com> eller kontakta oss på [iMProveS@inventivapharma.com](mailto:iMProveS@inventivapharma.com).

Som ett nästa steg förbereder Inventiva en fas Ib-studie hos MPS VI-barn som tar ERT i åldrarna 5 år och äldre. Även den här studien kommer att utföras i Europa, och patienter från hela världen kan delta. Studien är inte öppen än, men om du vill få information om utvecklingen vänligen kontakta oss på [SAFE-KIDDS@inventivapharma.com](mailto:SAFE-KIDDS@inventivapharma.com).

Inventiva behöver först samla in kliniska data från MPS VI-patienter innan patientfokus kan breddas och omfatta andra MPS-indikationer. Om du är en MPS I, II, IVA, VI or VII-patient och vill hålla kontakt gällande framtida studier, eller om du har några frågor, är du välkommen att kontakta oss på någon av de e-postadresser som anges ovan.