FDA nadała polskiej cząsteczce w USA status leku sierocego

5 lutego 2025

Amerykańska Agencja Żywności i Leków (FDA) nadała cząsteczce opracowanej przez specjalistów Uniwersytetu Jagiellońskiego Collegium Medicum w Krakowie status leku sierocego. Oznacza to, że w dalszych badaniach może być traktowana preferencyjnie.

Cząsteczkę oznaczona symbolem iQ-007 opracował zespół prof. Krzysztofa Kamińskiego z Wydziału Farmaceutycznego UJ Collegium Medicum. Jak dotąd przeszła ona fazę badań przedklinicznych, zrealizowanych przez firmę iQure Pharma Inc. w kooperacji z naukowcami UJ CM. Kluczowe eksperymenty wykazały potencjalną jej skuteczność w leczeniu zespołu Draveta (uwarunkowanej genetycznie rzadkiej i ciężkie encefalopatii padaczkowej).

Z informacji przesłanej PAP wynika, że jeśli potwierdzą to kolejne badania, tym razem kliniczne, czyli z udziałem pacjentów, może to być pierwszy w klasie kandydat na nowej generacji lek przeciwpadaczkowy. Lek sierocy to preparat przeznaczony do leczenia choroby rzadkiej, której częstotliwość występowania wynosi nie więcej niż 5 na 10 tys. osób, produkowany przez przemysł farmaceutyczny w celu zaspokojenia potrzeb zdrowia publicznego, a nie z przyczyn ekonomicznych.

„W przypadku wprowadzenia iQ-007 na rynek amerykański uzyskany status leku sierocego może przełożyć się na zaangażowanie naukowe amerykańskiej instytucji rządowej U.S. Food and Drug Administration (FDA) w proces planowania badań klinicznych, znaczące skrócenie kolejnych faz rozwoju, uproszczoną i tańszą

procedurę oceny i rejestracji leku, a także wydłużony okres ochrony patentowej oraz dodatkowy okres wyłączności na jego sprzedaż” – zaznacza się w informacji zamieszczonej na stronie internetowej uczelni.

Zespół Draveta najczęściej pojawia się około pierwszego roku życia, a czasem nawet u kilkutygodniowych niemowląt. Jego przyczyną jest mutacja genu SCN1A kodującego podjednostkę α1 kanałów sodowych zlokalizowanych na neuronach hamujących w mózgu. Napady padaczkowe zdarzają się często, charakteryzują się lekopornością, co przekłada się na znaczne upośledzenie rozwoju psychoruchowego dziecka. Jest to choroba progresywna i szacuje się, że blisko 15-20 proc. chorych umiera na skutek ciężkich napadów padaczkowych lub związanych z nimi urazów.

„Biorąc pod uwagę, jak trudna w leczeniu jest ta choroba, a także jej nieodwracalne skutki w rozwoju dziecka, istnieje nieustanne zapotrzebowanie na nowe – przede wszystkim skuteczniejsze, ale i lepiej tolerowane – leki do terapii zespołu Draveta. Nowatorski mechanizm działania iQ-007 oraz dotychczas uzyskane wyniki wskazują na jego użyteczność również w tym niezwykle uciążliwym zespole padaczkowym. Ponadto jego dobra tolerancja – a w szczególności brak senności, otępienia i zaburzeń pamięci – dają nadzieję na wprowadzenie nowej skutecznej i bezpiecznej terapii innych rodzajów napadów u dzieci” – wyjaśnia prof. Krzysztof Kamiński.

Według specjalistów UJ CM cząsteczka iQ-007 wykazuje unikatowy mechanizm działania, dotychczas nieopisany dla leków przeciwpadaczkowych, który polega na usuwaniu z przestrzeni synaptycznej nadmiaru glutaminianu będącego głównym neuroprzekaźnikiem pobudzającym w ośrodkowym układzie nerwowym. Patologiczny nadmiar glutaminianu w mózgu prowadzi jednak do wielu chorób neurologicznych, neurodegeneracyjnych i psychiatrycznych. Jego normalizacja powodowana przez iQ-007 może być pomocna w wielu innych schorzeniach, takich jak choroby Alzheimera, Parkinsona i Huntingtona, a także w

przypadku stwardnienia rozsianego, stwardnienia bocznego zanikowego, udarów niedokrwiennych mózgu, bólu, schizofrenii, depresji, lęku, autyzmu oraz uzależnień.

W 2020 r. cząsteczka została skomercjalizowana przez Uniwersytet Jagielloński za pośrednictwem Centrum Transferu Technologii CITTRU, a licencję udzielono iQure Pharma Inc. Faza przedkliniczna została zrealizowana przez dział R&D iQure w kooperacji z naukowcami UJ CM. Kluczowe eksperymenty potwierdzające potencjalną skuteczność iQ-007 w terapii zespołu Draveta zostały sfinansowane przez kapitał prywatny typu Venture Funding pozyskany przez iQure z USA, Niemiec oraz Wielkiej Brytanii.

Amerykańska Agencja Żywności i Leków (FDA) jest instytucją rządową, będąca częścią Departamentu Zdrowia i Opieki Społecznej Stanów Zjednoczonych. Do jej zadań należy m.in. kontrola żywności, suplementów diety, leków, kosmetyków, urządzeń medycznych. Agencja znana jest ze stosowania bardzo rygorystycznych przepisów oraz wymogów odnoszących się do dopuszczania leków do obrotu.

Autorstwo: PAP
Źródło: NaukawPolsce.pl