

Zatwierdzono lek ratujący najmłodszych

27 grudnia 2016

Federalna Agencja Żywności i Leków (FDA) zatwierdziła niezwykle obiecujący lek, który ratuje życie najmłodszych. Nusinersen to lek na rdzeniowy zanik mięśni (SMA). Dzieci z najcięższą postacią tej choroby zwykle umierają przed 2. rokiem życia. Firmy Ionis i Biogen opracowały środek, który po kilku latach testów daje obiecujące wyniki.

Spośród 20 dzieci z SMA, które przystąpiły do II fazy testów klinicznych w latach 2014-2015 dzisiaj żyje i samodzielnie oddycha 13. Mają one 2-3 lat. Zwykle aż połowa dzieci z badaną postacią SMA umiera lub przestaje samodzielnie oddychać przed 1. rokiem życia. Co więcej, autopsje dzieci, które zmarły pomimo podawania nusinersenu wykazały, że lek rzeczywiście zwiększenie ilości prawidłowo zbudowanych białek SMN z organizmie. Białka te chronią neurony ruchowe przed degradacją.

Już wyniki II fazy testów napawały olbrzymim optymizmem, ale zostały one przyćmione przez fazę III, w której wzięło udział jeszcze więcej pacjentów. Przedstawiciele Ionisa i Biogenu oznajmili, że u pacjentów przyjmujących Spiranzę (pod taką nazwą handlową będzie sprzedawany nusirensen) wykazali „wysoce istotną statystycznie znaczącą poprawę” czynności ruchowych.

W związku z bardzo dobrymi wynikami testów FDA i Europejska Agencja Leków rozpoczęły szybką ścieżkę zatwierdzenia leków. Przed trzema dniami Spiranza została zatwierdzona przez FDA.

Autorstwo: Mariusz Błoński

Na podstawie: ScienceMag.org

Źródło: KopalniaWiedzy.pl