

NOVICE IZ SVETA FARMACIJE

NOV KORTIKOSTEROID ZA ZDRAVLJENJE DUCHENNOVE MIŠIČNE DISTROFIJE

Nina Gradišek

FDA je odobrila uporabo peroralne suspenzije kortikosteroida vamolorona v odmerku 40 mg/mL (tržno ime Agamree), za zdravljenje Duchenneve mišične distrofije pri posameznikih, starejših od dveh let. Pozitivno mnenje je podal tudi Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini pri EMA.

Duchennova mišična distrofija, živčno-mišična bolezen, je najpogostejša oblika mišične distrofije, za katero je značilno hitro napredujoče propadanje mišic. Pacienti postopno izgubijo sposobnost hoje in trpijo za respiratorno odpovedjo, ki je skupaj z kardiomiopatijo najpogostejši vzrok smrti v zgodnji odrasli dobi.

Standardno zdravljenje predstavljajo kortikosteroidi, ki jih uvedejo individualno, ko motorične sposobnosti pacienta dosežejo plato. Tako zdravljenje sicer upočasni propad mišic in podaljša obdobje samostojne gibljivosti za nekaj let, hkrati pa ga spremljajo številni neželeni učinki.

Vamoloron se veže na glukokortikosteroidne receptorje, s čimer sproži protivnetno delovanje, hkrati pa tudi inhibira aktivacijo mineralokortikoidnih receptorjev, ki jih aktivira aldosteron. Natančen mehanizem, kako učinkovina doseže terapevtsko delovanje pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo, še ni znan, prav to različno delovanje receptorje pa je tisto, ki ga loči od ostalih kortikosteroidov.

Učinkovina vpliva tudi na receptorsko signaliziranje, s čimer doseže tako terapevtski učinek kot tudi ugodnejši profil neželenih učinkov. Najpogostejši med njimi so znaki Cushingovega sindroma, bruhanje, povečanje telesne mase, pomanjkanje vitamina D in razdražljivost.

Zdravilo Agamree skrajša čas, ki ga bolniki potrebujejo, da vstanejo iz ležečega položaja, prav tako pa pri bolnikih, ki še lahko hodijo, to sposobnost izboljša.

Zdravilo podjetja Santhera Pharmaceuticals naj bi na trg prišlo v začetku naslednjega leta, za prvih sedem let pa je FDA zdravilu podelila ekskluzivnost in status zdravila sirote.

Viri:

1. *Pharmacy Times*, <https://www.pharmacytimes.com/view/fda-approves-vamorolone-for-treatment-of-duchenne-muscular-dystrophy-in-patients-aged-2-years-and-older>; dostop: 6. 11. 2023
2. *EMA*, <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/agamree>; dostop: 6. 11. 2023

NAPREDEK NA PODROČJU ZDRAVLJENJA NEVRODEGENERATIVNIH BOLEZNI S SELEKTIVNO ELEKTRIČNO STIMULACIJO PRIZADETIH MOŽGANSKIH REGIJ

Antonina Žaberl

Raziskovalci britanskega Inštituta za raziskovanje demence (*UK Dementia Research Institute*) so svetu predstavili novo potencialno obliko zdravljenja kroničnih nevrodegenerativnih bolezni s pomočjo globokotivne stimulacije možganov.

Nevrodegenerativne bolezni so skupina ireverzibilnih bolezenskih stanj, ki se kažejo kot upad kognitivnih funkcij, motnje pomnjenja in okrnjenje motoričnih sposobnosti, ki jih povzroči progresivna atrofija možganskih celic. Zapleten mehanizem nastanka bolezni predstavlja velik izziv za razvoj potencialnih zdravil in metod zdravljenja.

Na novo zasnovana metoda zdravljenja temelji na globokotivni stimulaciji specifičnih regij možganov z uporabo tehnologije temporalne interference, s katero skozi elektrode ciljno usmerjamo različne frekvence električnega polja. Analogno električno stimulacijo možganov je bilo do sedaj mogoče doseči le z invazivnejšimi operativnimi metodami zdravljenja.

V prvem delu raziskave, ki je vključevala 20 zdravih posameznikov, je raziskovalna skupina želela doseči stimulacijo hipokampusa, dela možganov, ki je odgovoren za pomnjenje in učenje. V poskusu so s temporalno interferenco preiskovancem v hipokampus varno dostavili različne fre-





kvence električnega polja. Stimuliranost ciljne regije možganov so spremljali s pomočjo magnetne resonance. Rezultati raziskave so potrdili povečanje stimuliranosti hipokampusa, ki se je pri preiskovancih kazala kot izboljšana funkcija pomnjenja, in s tem dokazali uspešnost nove metode ciljne stimulacije.

V drugem delu raziskave so v sodelovanju z raziskovalci švicarske raziskovalne univerze *École polytechnique fédérale de Lausanne* z uporabo temporalne interference načrtovali ciljno stimuliranje možganskega striatuma, ki je povezan z motoričnim pomnjenjem. Tudi drugi del raziskave se je izkazal za uspešnega in s tem podprl metodo globokotivne stimulacije možganov s pomočjo temporalne interference kot obetajočo terapijo za zdravljenje nevrodegenerativnih bolezni.

Po dokazani uspešni izboljšavi spomina na zdravih posameznikih raziskovalci preizkušanje nove metode ciljne stimulacije možganov nadaljujejo na posameznikih z Alzheimerjevo boleznijo.

Vir:

1. *PharmaTimes online*; https://www.pharmatimes.com/news/deep_brain_stimulation_could_improve_memory_loss_in_alzheimers_disease_1502388; dostop: 6. 11. 2023

FDA JE ODOBRILA NOVO MONOKLONSKO PROTITELO ZA ZDRAVLJENJE ULCEROZNEGA KOLITISA

Brina Jakopič

Ulcerozni kolitis je dolgoročno vnetno bolezensko stanje, ki prizadene debelo črevesje in danko. Bolezen se lahko manifestira le v danki in/ali zajame levo polovico črevesa ali pa celotno debelo črevo. Pojavnost bolezni narašča s sodobnim načinom življenja v razvitih državah, vzroki pa so idiopatske narave. Na potek bolezni vplivajo imunološki in dedni dejavniki ter stres, velik vpliv pa ima tudi sprememba črevesne mikrobiote zaradi neuravnotežene prehrane in nezadostnega vnosa vlaknin. Zdravljenje te bolezni zajema širokospektralno terapijo z zdravili, ki imajo lahko resne neželene učinke, ali pa operativne posege. Cilj pri razvoju novih in učinkovitejših zdravil je ne le izboljšati, temveč tudi podaljšati življenjsko dobo bolnika. V zadnjih

letih v ospredje prihajajo biološka zdravila, ki revolucionirajo področje farmacije.

Eno takšnih je zdravilo Omvoh™ (mirikizumab-mrkz) podjetja Eli Lilly and Company, ki ga je FDA 26. oktobra letos odobrila kot prvo zdravilo oz. učinkovino z novim mehanizmom delovanja (*first-in-class drug*). Omvoh™ je prvo in doslej edino monoklonsko protitelo, ki deluje kot antagonist interleukina 23 in se selektivno veže na njegovo podenoto p19, ki ima glavno vlogo pri vnetju črevesja. Zdravilo je indicirano za zdravljenje zmerne do hudega ulceroznega kolitisa. Aplicira se v obliki infuzije (300 mg/15 mL) oz. injekcije (100 mg/mL). V terapiji se pri manj kot 2 % bolnikov pojavijo neželene reakcije, ki obsegajo vnetja zgornjega dihalnega trakta, reakcije na mestu vboda, izpuščaje, glavobol in okužbe s herpes virusom med vzdrževanjem terapije. Kontraindikacij, razen alergije na monoklonsko protitelo mirikizumab-mrkz ali pa na dodane ekscipiente, ni. Raziskave so pokazale statistično značilno remisijo bolezni pri 54,1 % udeležencev v 52. tednu zdravljenja v primerjavi s placebo skupino, pri kateri je prišlo do 19,6-odstotnega zmanjšanja simptomov bolezni.

Zdravilo je v Evropski uniji in na Japonskem že dobilo dovoljenje za promet, v ZDA pa bo na voljo v prihajajočih tednih.

Viri:

1. Zhang T, Zhang B, Tian W, Wang F, Zhang J, Ma X, Wei Y, Tang X. Research trends in ulcerative colitis: A bibliometric and visualized study from 2011 to 2021. *Front Pharmacol*. 2022 Sep 9;13:951004.
2. NHS, <https://www.nhs.uk/conditions/ulcerative-colitis/>; dostop: 6. 11. 2023
3. Eli Lilly and Company, <https://investor.lilly.com/news-releases/news-release-details/fda-approves-lillys-omvoh-tm-mirikizumab-mrkz-first-class>; dostop: 6. 11. 2023
4. FDA, <https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/new-el-drug-approvals-2023>; dostop: 6. 11. 2023

EMA PRIPOROČA ODOBRITEV PRILAGOJENEGA NUVAXOVID COVID-19 CEPIVA

Lejla Pašić

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini pri EMA je priporočil odobritev prilagojenega cepiva Nuvaxovid, usmerjenega proti podtipu XBB.1.5 virusa SARS-CoV-2, znanemu kot omikron. Cepivo, imenovano Nuvaxovid