Otázky Santera – Family Friendly verze

1. Co je Catena® a jak funguje?

Catena® je americké produktové označení pro potahované tablety s idebenonem (150mg) od společnosti Santhera. Catena je podávána perorálně (ve formě tablet) 3x denně.

Idebenon při DMD zvyšuje energetický výdej buněčných mitochondrií, které jsou vlastně takovými továrnami, pohánějícími veškeré buněčné aktivity. Konkrétně látka působí jako elektronový nosič a dodává doplňkové elektrony do mitochondrií - ty je pak dále využívají k zásobení buněk energií. Idebenon navíc aktivuje enzym, který je v buněčném cyklu jindy zřídka využívaný, a to má za následek produkci ještě většího množství energie. Idebenon dokáže přenášet a distribuovat elektrony v rámci mitochondrií vícekrát. Pomáhá buňkám nejenom s vytvářením dodatečné energie - je také silným antioxidantem a dokáže v buňkách neutralizovat škodlivé volné radikály.

Veškeré tyto pochody pomáhají dystrofickým svalovým buňkám se zachováním dostatečného energetického zásobování, jež je u nich v důsledku nedostatku dystrofinu omezeno, a navíc je chrání před oxidačním stresem.

U myší s nedostatkem dystrofinu se při podáváníidebenonu potvrdilo, že látka snižuje poškození srdečního svalu a zvyšuje jeho výkon při zátěži.

V klinických studiích s idebenonem fáze II a III se potvrdila účinnost idebenonu – dokázal oddálit ztrátu respirační funkce u pacientů, kteří nebyli současně léčeni steroidy (věk pacientů v klinických studiích byl 8 a více let).

2. Jaký je rozdíl mezi idebenonem a koenzymem Q10?

Na rozdíl od běžného potravinového doplňku Konezymu Q10 (KOQ10), který je velkou molekulou nerozpustnou ve vodě, byl idebenone optimalizován tak, aby se stejně dobře rozpouštěl ve vodě i v lipidech (oleji podobné tuky, tvořící buněčné membrány). To znamená, že idebenon dokáže účinně proniknout do svalových buněk a dokáže opakovaně pronikat také buněčnými membránami a dopravovat elektrony do mitochondrií, a zajišťovat tedy i opakovanou donášku elektronů do mitochondrií. Jeho rozpustnost ve vodě navíc zaručuje, že je idebenon „rozpoznán“ enzymem, který idebenonu dodá elektronový náklad, a ten je posléze vyložen v mitochondriích.

Idebenon a Koenzym Q10 mají zásadní rozdíly v chemické struktuře, i když jsou si jinak v některých ohledech podobné. Koenzym Q10 má mnohem delší „ocásek“, což právě umožňuje velmi dobrou rozpustnost v lipidech,idebenone má tento ocásek kratší, a je proto rozpustný ve vodě. Schopnosti obou molekul také nelze zaměňovat. S koenzymem nebyli provedeny žádné placebem kontrolované studie, které by dokládaly jeho efektivitu při oddálení ztráty respirační funkce u pacientů s Duchennovou svalovou dystrofií – ty jsou k dispozici jen pro idebenon.

3. Existuje nějaký důvod, proč bych si idebenon neměl/a jednoduše obstarat po internetu?

Idebenonové zdroje prodávané po internetu jsou nesprávně označované chemické látky - vitamíny, potravinové doplňky, různé živiny a podobně. Nejedná se o lékařské produkty. Agentura FDA žádný z těchto produktů neschválila pro použití u lidských pacientů a tyto produkty nejsou FDA ani sledovány z hlediska kvality. Rodina/pacient si proto nemohou být jisti jejich účinností a není ani jisté, zda neobsahují škodlivé složky. Níže tiskové vyjádření ředitele Kanceláře pro výkonné rozhodování a dovozové operace FDA z 22. května 2014 k ilegálním internetovým zdrojům:

„Pokud si spotřebitelé zakoupí léky na předpis mimo zákonný zásobovací řetězec, nemohou vědět, zda neobdrží léky padělané, nebo zda vůbec obdrží léčiva obsahující správnou účinnou složku ve správném dávce," Sdělil DouglasStearn, ředitel Kanceláře pro výkonné rozhodování a dovozové operace FDA. „Spotřebitelé mají malé nebo žádné zákonné zdroje ochrany pokud u nich dojde k reakci na neregulované léčivo nebo pokud se nedostaví žádný léčebný přínos. Kromě zdravotních rizik tato léčiva navíc vystavují spotřebitele i dalším rizikům: Například zneužití kreditních karet, krádeži identity nebo nákaze počítačovými viry."

4. Můžete nám sdělit něco o „označení"léčiva („label"), u kterého bude probíhat schvalování? (Např. věkové omezení, zda bude lék určen pro chodící/nechodící pacienty, zda budou lék moci užívat pacienti se steroidní léčbou atd.)

Označení/label léčiva popisuje důkazy o účinnosti léku, o jeho vedlejších účincích a také pro koho je předepsání léku určeno. Často také určuje, komu by měla pojišťovna nebo státní zdravotnický systém léčbu daným lékem hradit. Rozhodnutí o přesném označení se bude muset projednávat s FDA a ta je také odsouhlasí.

V současné době Santhera předpokládá, že se bude usilovat o omezení na pacienty, kteří neužívají steroidy a kteří mají známky poškození dýchací funkce. Regulační agentury často „label" založí na dostupných datech, která mají, a připomeňme, že veškerá data o idebenonu shromážděná ve studii 3. fáze pochází od účastníků (v době konání studie) ve věku 10 let a starších. Santhera nepředpokládá, že bude nějaké omezení z hlediska schopnosti chůze chlapců.

5. V jakých zemích Santhera o schválení produktu Catena™ žádá?

Santhera se připravuje na podávání žádosti o schválení pro trh v Severní Americe a Evropě (pod produktovým označením Raxone®)

6. Jaké jsou výsledky studie 3. fáze?

Data z fáze III studie DELOS budou prezentována na konferenci WMS v Berlíně v rámci webináře pořádaného PPMD dne 15. října 2014 (18H). (Pro více podrobností klikněte sem.)

Ve fázi III (DELOS) klinické studie idebenon prokázal účinnost při oddálení ztráty respirační funkce u pacientů současně neléčených steroidy (pacientům V DELOS bylo 10 a více let; bez výběru specifických mutací v dystrofinovém genu; více než 90% bylo nechodících)

7. Jaké budou další kroky Santhery v Severní Americe a Evropě?

Santera zahájila diskuze s evropskými regulačními orgány a začala kompilovat dokumentaci potřebnou pro dosažení schválení žádosti. Očekává se, že schválení pro indikaci DMD by mohlo být dosaženo v první polovině roku 2015.

8. Jak si mám udržet aktuální informace o léčivu Catena™?

Navštivte prosím stránky www.santhera.com. Naleznete zde pravidelné aktualizace a zprávy.

Santhera bude komunitu DMDudržovat v obraze o hlavních bodech vývoje.