



Эффекты Раксоны/Катены (Идебенона) на респираторную функции у пациентов с миодистрофией, которые не принимают глюкокортикостероиды.

Santhera Pharmaceuticals

Исследования Идебенона при 3 состояниях с высокой необходимостью разработки лечения.



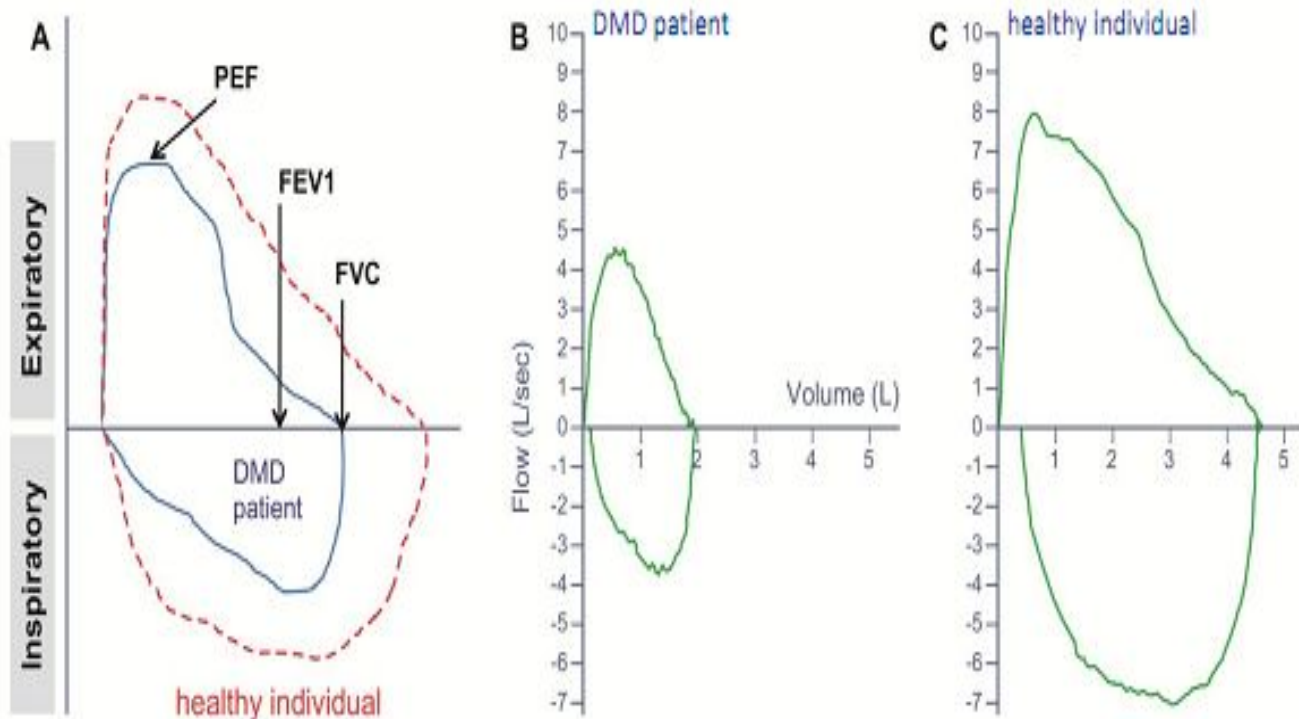
- Наследственная оптическая нейропатия Лебера
- Миодистрофия Дюшенна
- Первичный прогрессирующий рассеянный склероз

Медицинская необходимость в эффективном лечении дыхательной недостаточности при миодистрофии Дюшенна.

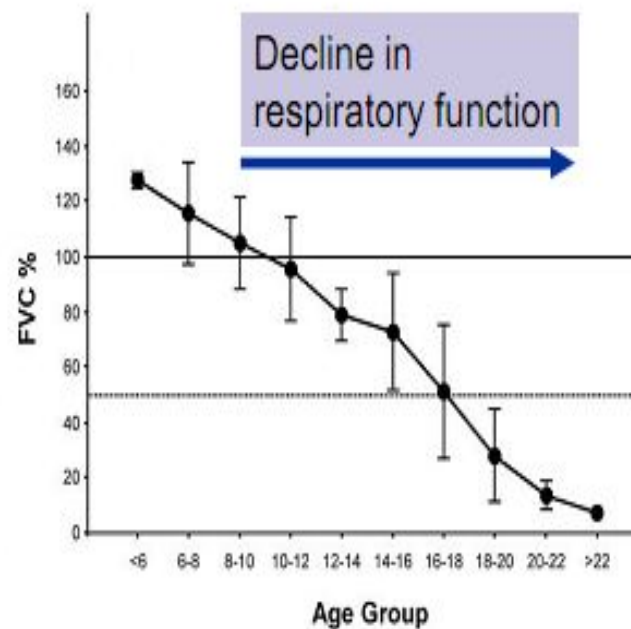
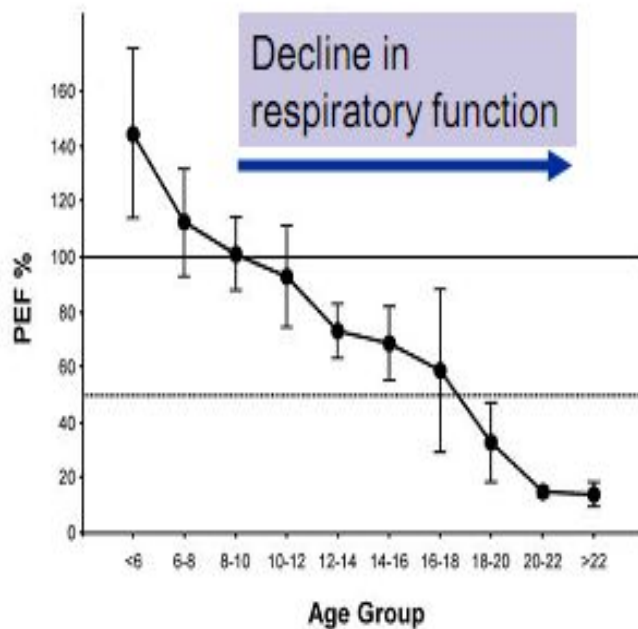
- Прогрессивная слабость дыхательных мышц приводит к ограничению легочной функции.
- Медицинские осложнения включают неэффективный кашель, ночную гиповентиляцию и, в конечном счете, дыхательную недостаточность в дневное время .



Определение снижения легочной функции при миодистрофии Дюшенна

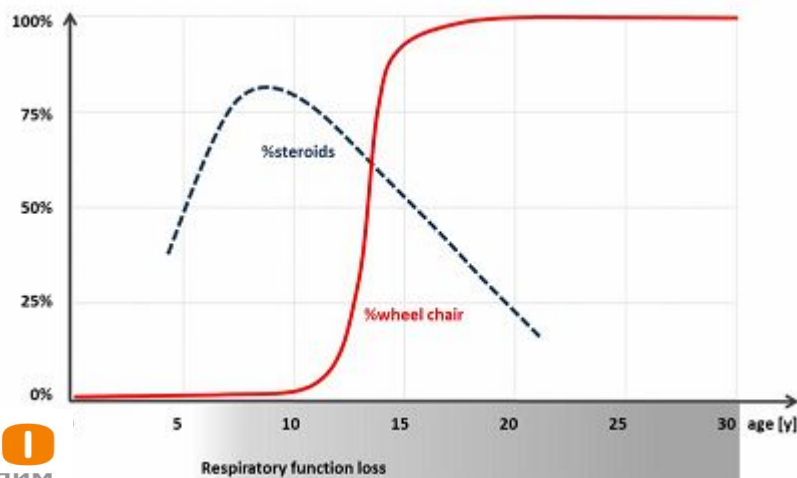


Измерения пиковой скорости выдоха и форсированной жизненной емкости легких показывают линейное снижение.

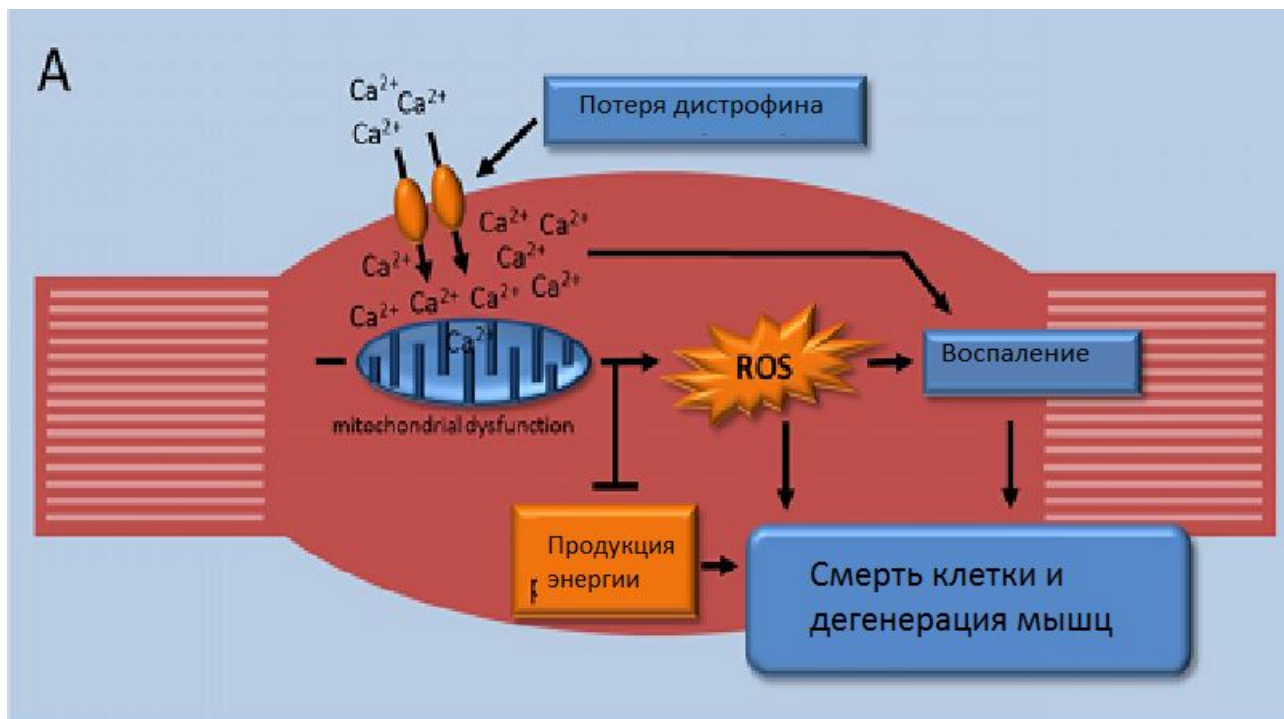


Срочная медицинская потребность для пациентов, которые не могут принимать глюкокортикостероиды.

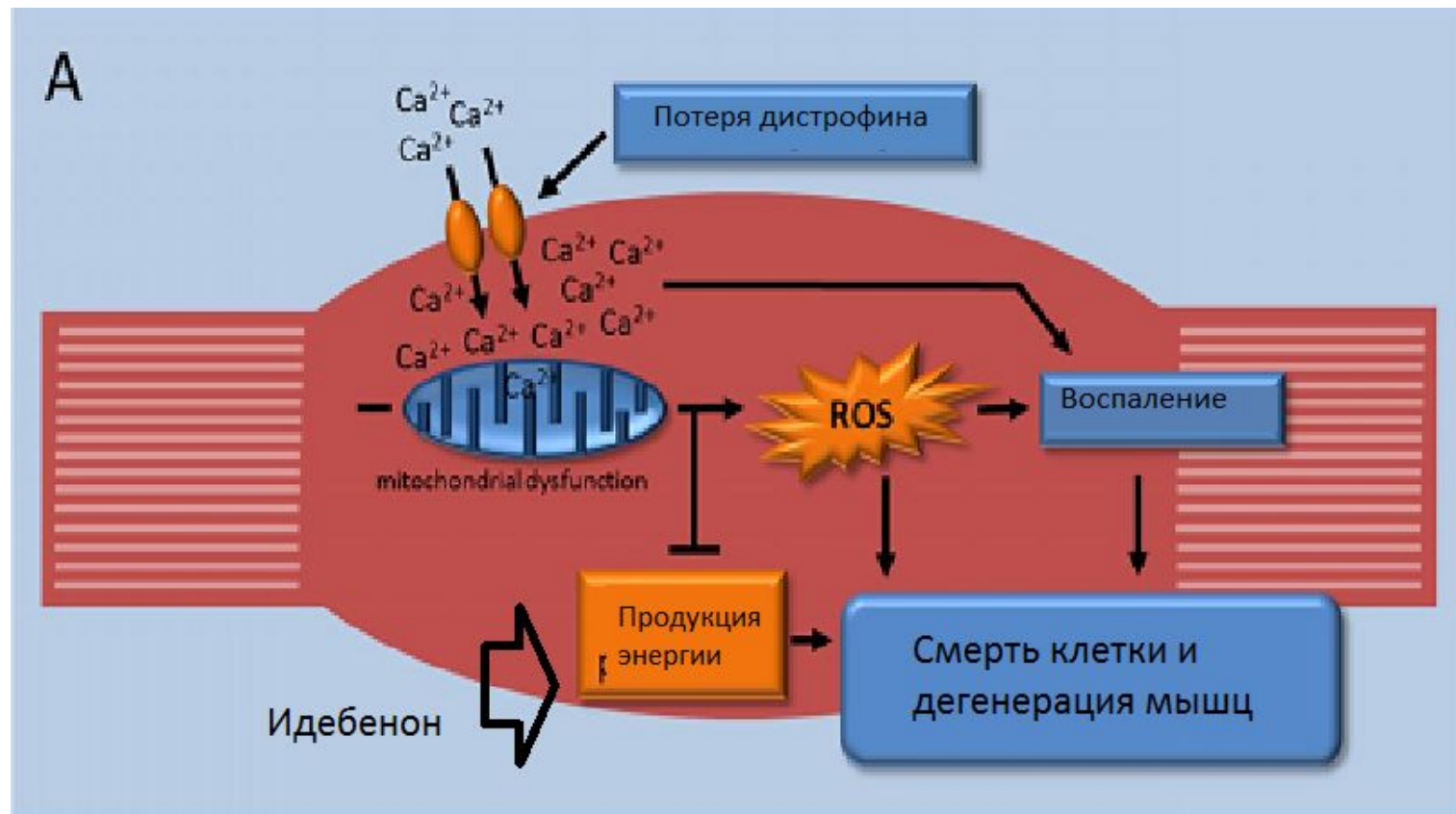
- С увеличением возраста меньше пациентов переносят глюкокортикостероиды (побочные эффекты)
- Потеря дыхательной функции приводит к критической стадии в раннем подростковом возрасте
- В настоящее время нет лечения для этой группы пациентов с МДД



Митохондриальные нарушения при миодистрофии.



Идебенон. Механизм действия при миодистрофии.



Фаза 3 исследования- пациенты и лечение

Пациенты

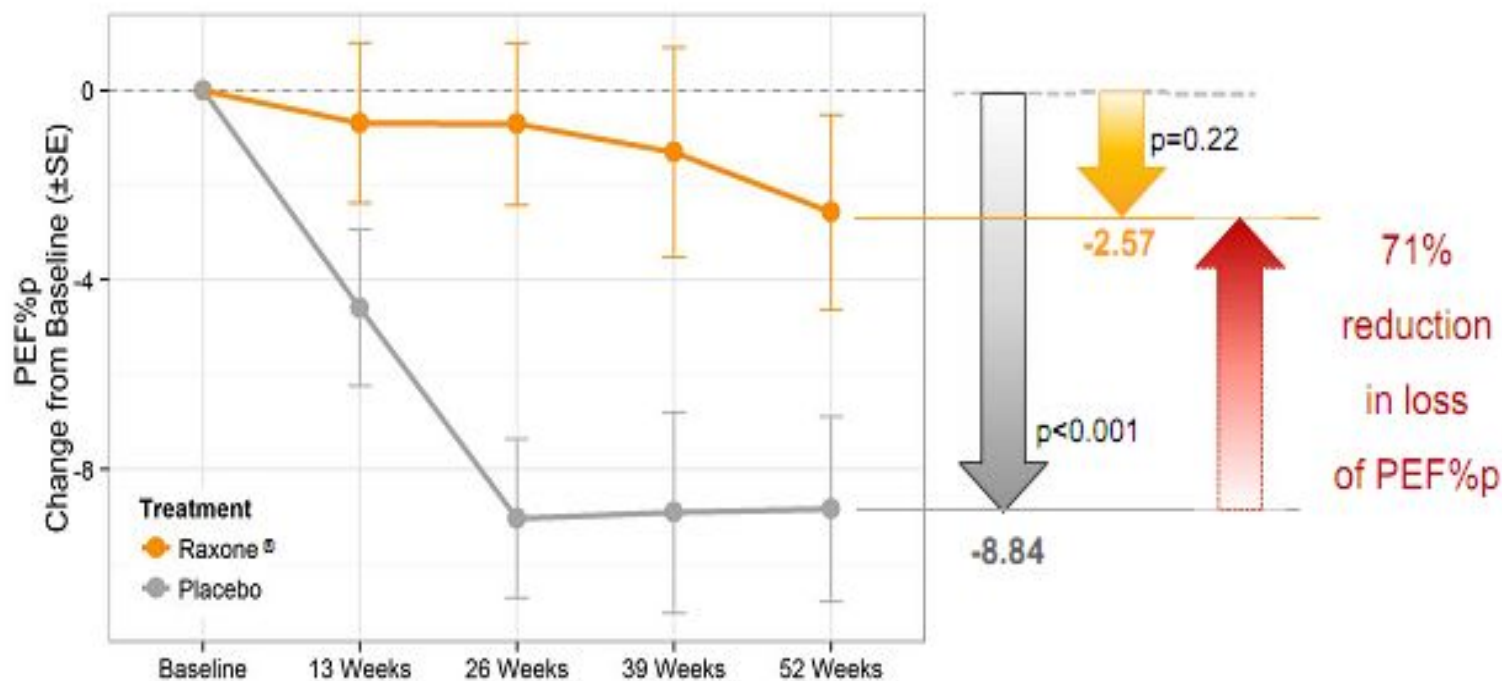
- Возраст 10-18 лет
- Не имеет значение тип мутации
- Пациенты не должны принимать стероиды
- 92% пациентов не ходили

Лечение

- Раксон (900мг/день)
- Плацебо -33 пациента
- Средний возраст 14,3 года
- Лечение 12 месяцев

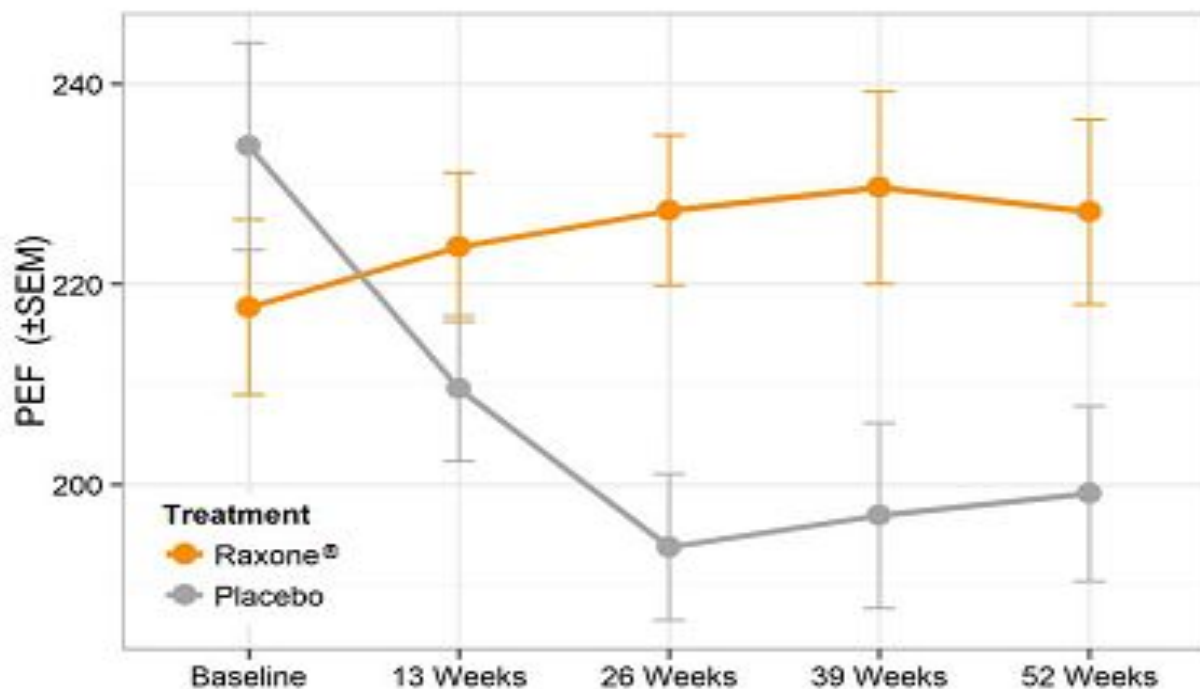


Изменения пиковой скорости выдоха



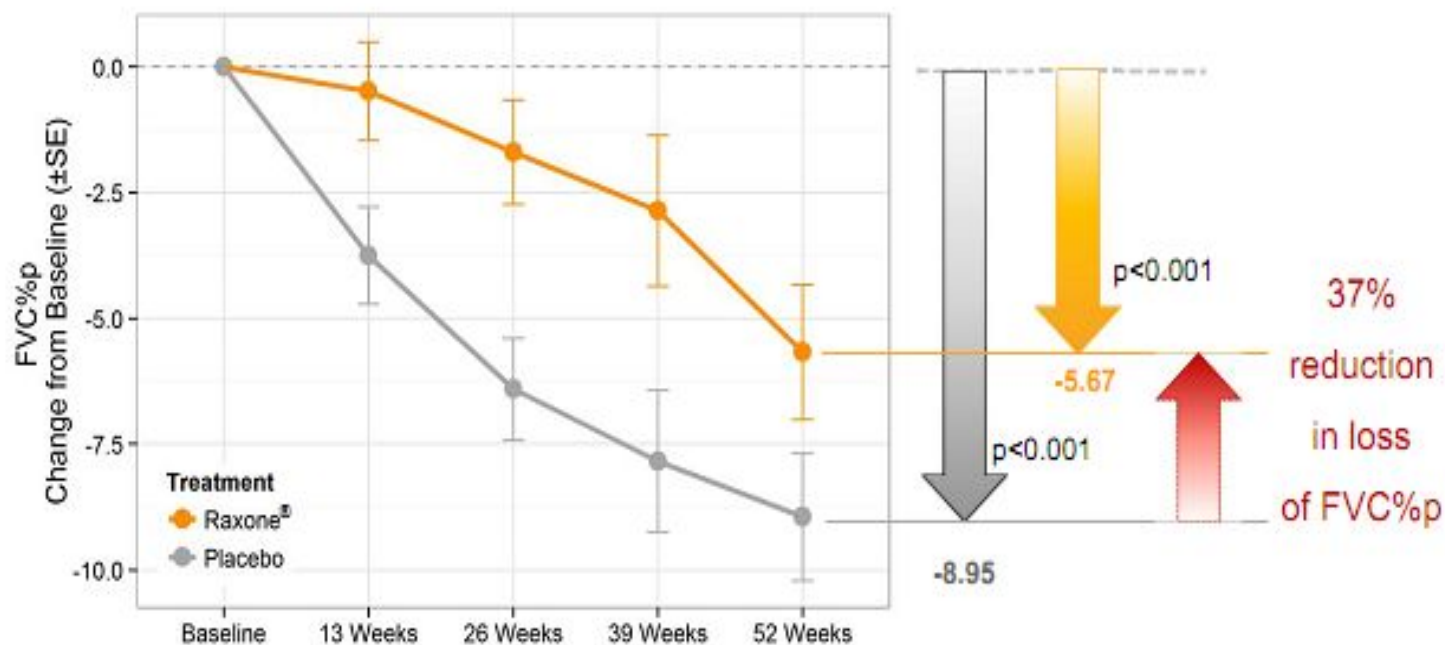
Difference	3.90	8.32	7.60	6.27
p-value	0.10	<0.001	0.02	0.03

Прогрессирование абсолютной пиковой скорости выдоха



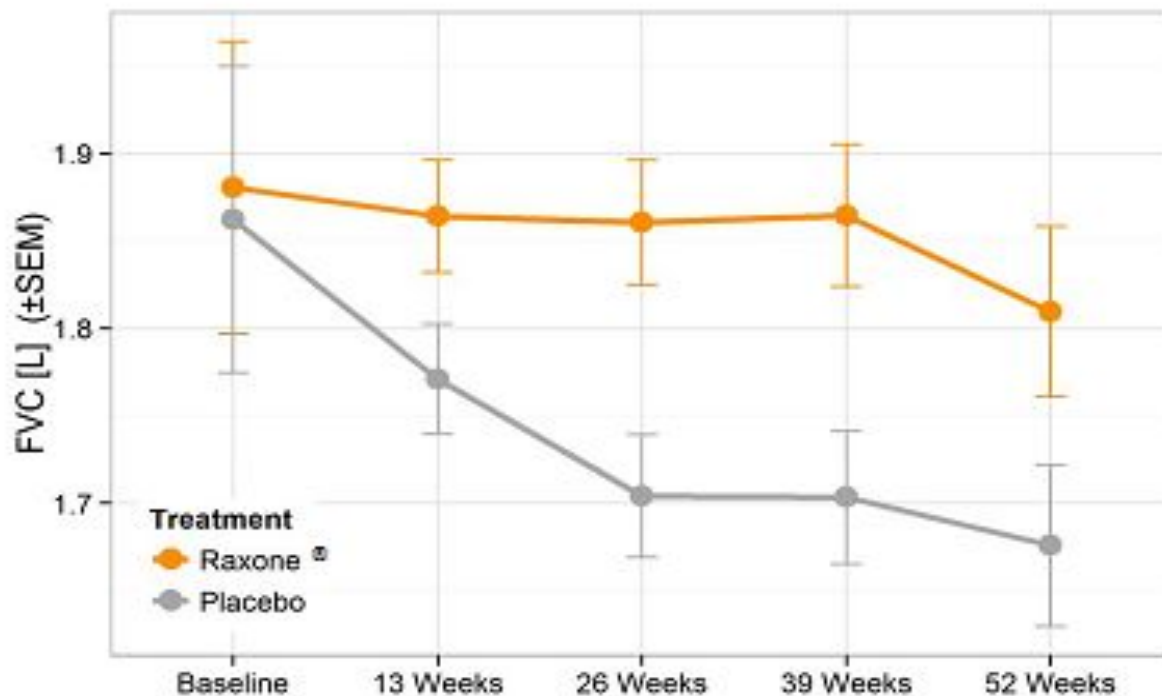
Difference	14.1	33.6	32.7	28.1
p-value	0.18	0.002	0.02	0.03

Изменения жизненной емкости легких



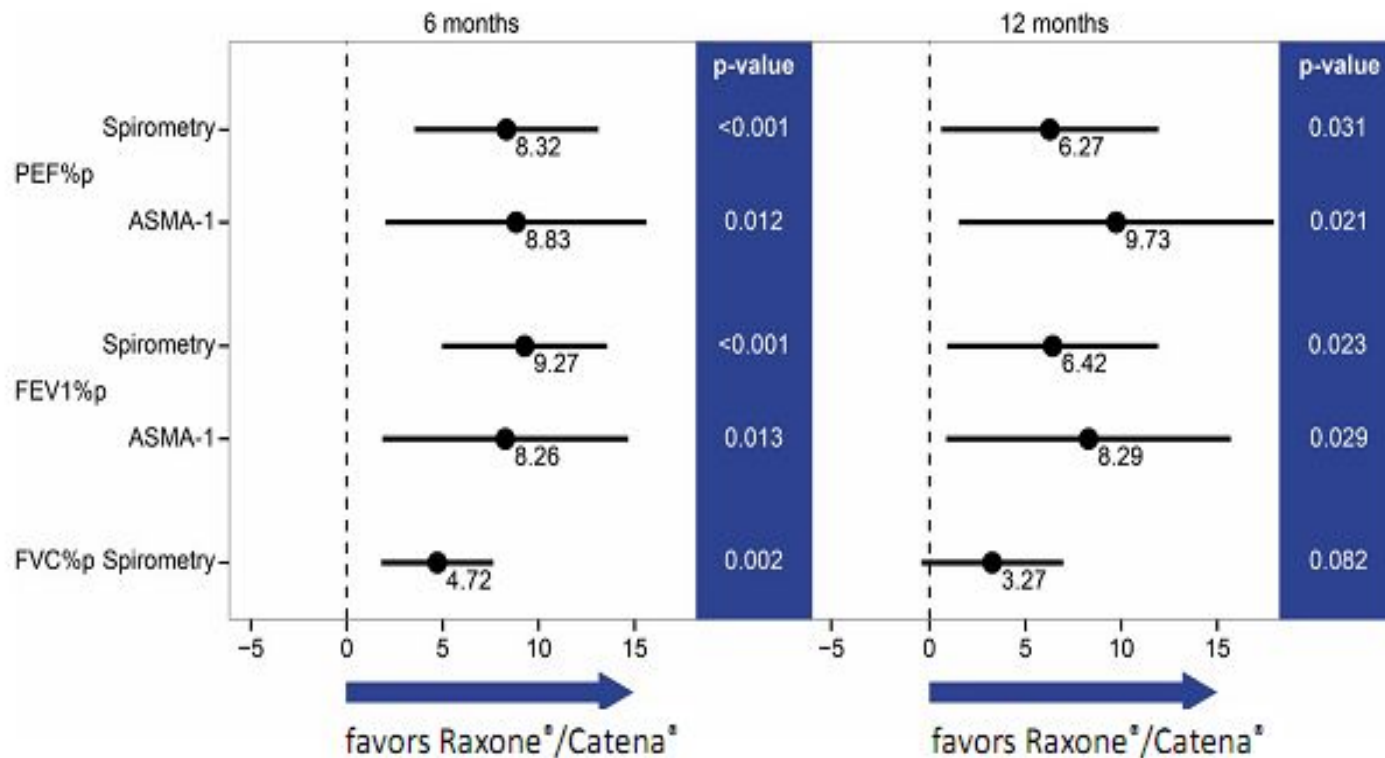
Difference	3.27	4.72	4.97	3.27
p-value	0.02	0.002	0.02	0.08

Прогрессирование абсолютного значения ЖЕЛ

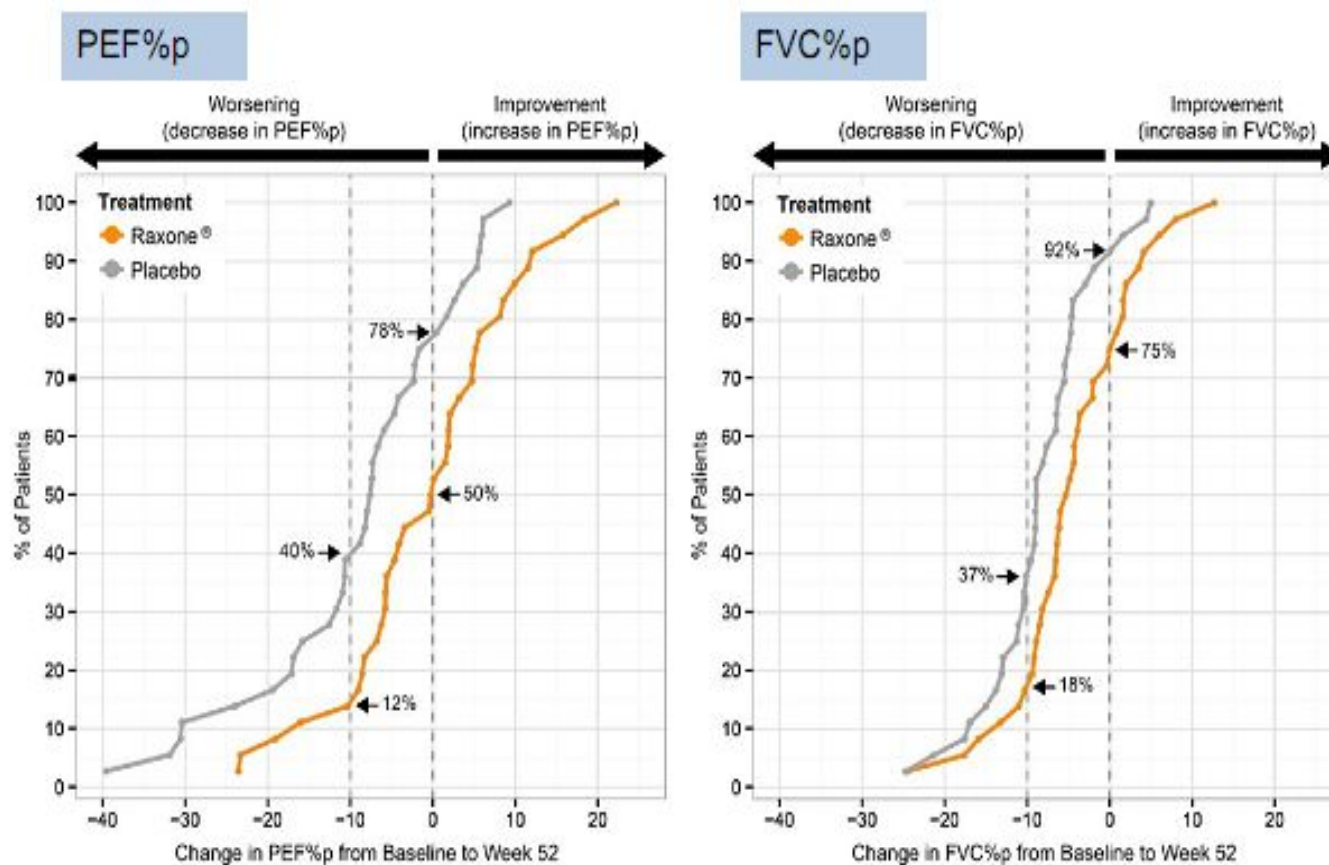


Difference	0.09	0.16	0.16	0.13
p-value	0.04	0.003	0.005	0.05

Рахоне® задерживает потерю дыхательной функции



Совместный анализ Фазы 2 и 3



Позиционирование Рахоне® в лечении МДД

- Существует значительная доля пациентов, которые не могут принимать стероиды во время, когда потеря дыхательной функции становится очевидной
- Существует острая неудовлетворенная медицинская потребность в замедлении снижения дыхательной функции у этих больных
- Имеющиеся данные свидетельствуют о том, что исследуемый препарат Рахоне® замедляет потерю функции внешнего дыхания у больных.
- Рахоне® был протестирован у пациентов без ограничений
- Рахоне® является оральным препаратом (2 таблетки 3 раза / сут)

Переведено проектом МОЙМИО:

<http://mymio.org>

Оригинал:

http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=Connect_conference_presentations_15

