

# 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 Duchenove mišične distrofije pri posameznikih, starejših od dveh let. Pozitivno mnenje je podal tudi Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini pri EMA.

Duchenova 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 upočasnjuje 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 Duchenovo 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 zdravilo 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 neurodegenerativnih bolezni s pomočjo globokotivne stimulacije možganov.

Neurodegenerativne 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-

