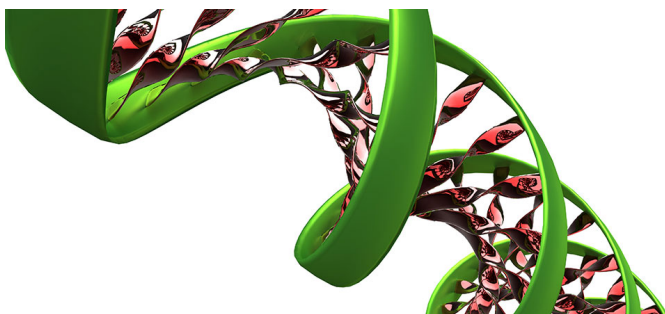


# Nowy rok, nowa nadzieja



Dokładnie rok temu [pisaliśmy o trwających na świecie pracach](#), mających na celu znalezienie nowego, skutecznego leku dla chorych na chorobę Niemann-Picka. Cieszymy się bardzo, że Centrum Zdrowia Dziecka znalazło się w gronie szesnastu ośrodków w Europie, w których przeprowadzone zostaną badania kliniczne specyfiku o nazwie Arimoclomol (substancja czynna: Cytrynian arimoklomu).

20 stycznia br. stawiliśmy się w CZD, gdzie Eliza przeszła szereg badań kontrolnych. W ubiegłym tygodniu otrzymaliśmy potwierdzenie, że nasza córka zakwalifikowała się do pierwszego z dwóch etapów wspomnianych badań klinicznych. W pierwszym etapie lek nie jest podawany pacjentom, a celem jest określenie progresji choroby, poprzez badanie wszystkich istotnych parametrów. Po sześciu miesiącach, pacjenci mogą otrzymać propozycje udziału w badaniu klinicznym z randomizacją (przydział losowy do grupy badania), w którym będą przyjmować Arimoclomol lub placebo. Celem badania jest obserwacja skuteczności i bezpieczeństwa Arimoclomu w porównaniu z placebo.



W założeniach Arimoclomol ma działać zupełnie inaczej niż jedyny dotychczas dostępny lek, Zavesca (miglustat). Substancja ma stymulować wytwarzanie protein (tzw. białek

szoku cieplnego).

Białka szoku cieplnego (HSP – ang. Heat Shock Proteins) uczestniczą w naturalnych procesach naprawy uszkodzonych komórek, umożliwiając transport określonych białek do właściwych organelli komórkowych, chroniąc istniejące białka przed działaniem czynników degradujących oraz biorąc udział w usuwaniu białek uszkodzonych, których nie można już naprawić. Co ważne, białka szoku cieplnego posiadają też zdolność rozbijania określonych tłuszczów.

Pełnią rolę ochronną przed skutkami działania różnorodnych stresów na nasz organizm oraz pomagają komórkom w niezakłóconym przebiegu procesów wewnątrzkomórkowych w trudnych sytuacjach. Chronią przed uszkodzeniem spowodowanym niedotlenieniem, urazem i krwotokiem: serce, płuca, wątrobę, błonę śluzową jelit.

W chorobie Niemann-Picka typu C, złogi różnych tłuszczów w komórkach, ograniczają ich zdolność do normalnego funkcjonowania. Arimocłomol ma stymulować naturalne mechanizmy komórki do naprawy uszkodzeń, właśnie poprzez zwiększenie wytwarzania białek szoku cieplnego. Dlatego uważa się, że lek ten nie tylko powstrzyma rozwój choroby, ale zmniejszy jej symptomy.

Dotychczas skuteczność leku udało się określić za pomocą modeli teoretycznych oraz w testach na zwierzętach (myszach). Rozpoczynające się testy kliniczne mają na celu zbadanie rzeczywistego działania leku u chorych. Jeśli wszystkie założenia się potwierdzą i testy kliniczne zakończą się sukcesem, to Arimocłomol ma szansę być pierwszym lekiem istotnie poprawiającym stan zdrowia osób cierpiących na chorobę Niemann-Picka.

Więcej informacji na temat Arimocłomolu znaleźć można na anglojęzycznych stronach:

<http://www.aidnpc.com/>

<http://www.orphazyme.com>

<http://www.niemann-pick.org.uk>

<http://www.nnpdf.org/Orphazyme.html>

<http://www.ema.europa.eu>

*Więcej informacji na temat testów klinicznych w Centrum Zdrowia Dziecka można uzyskać:*

*Pani Prof. dr hab. n. med. Anna Tylki-Szymanska, tel.: +48 22 815 74 90, email: a.tylki@czd.pl*

*Pani dr Barbara Perkowska-Sumiła, tel.: +48 22 815 74 90, email: oddzial.metabolizm@czd.pl*

Ilustracje pochodzą ze strony <http://www.orphazyme.com>