

Эффект раксона (идебенона) на дыхательную функцию при миодистрофии Дюшенна

# Повестка дня

- Медицинская потребность в лечении потери функции легких при МДД
- Митохондриальная патология при МДД и обоснование применения идебенона
- Программа развития Santherac раксона(идебенона) при МДД
- Результаты эффективности исследования 3-й фазы DELOS у пациентов с МДД, не использующих стероиды
- Эффективность по показателям дыхательной функции
- Эффективность при бронхолегочных осложнениях
- SIDEROS - новое испытание для пациентов, использующих стероиды
- Нормативное обновление

# Информация о раксоне (идебенону) при трех состояниях с высокой потребностью в лечении



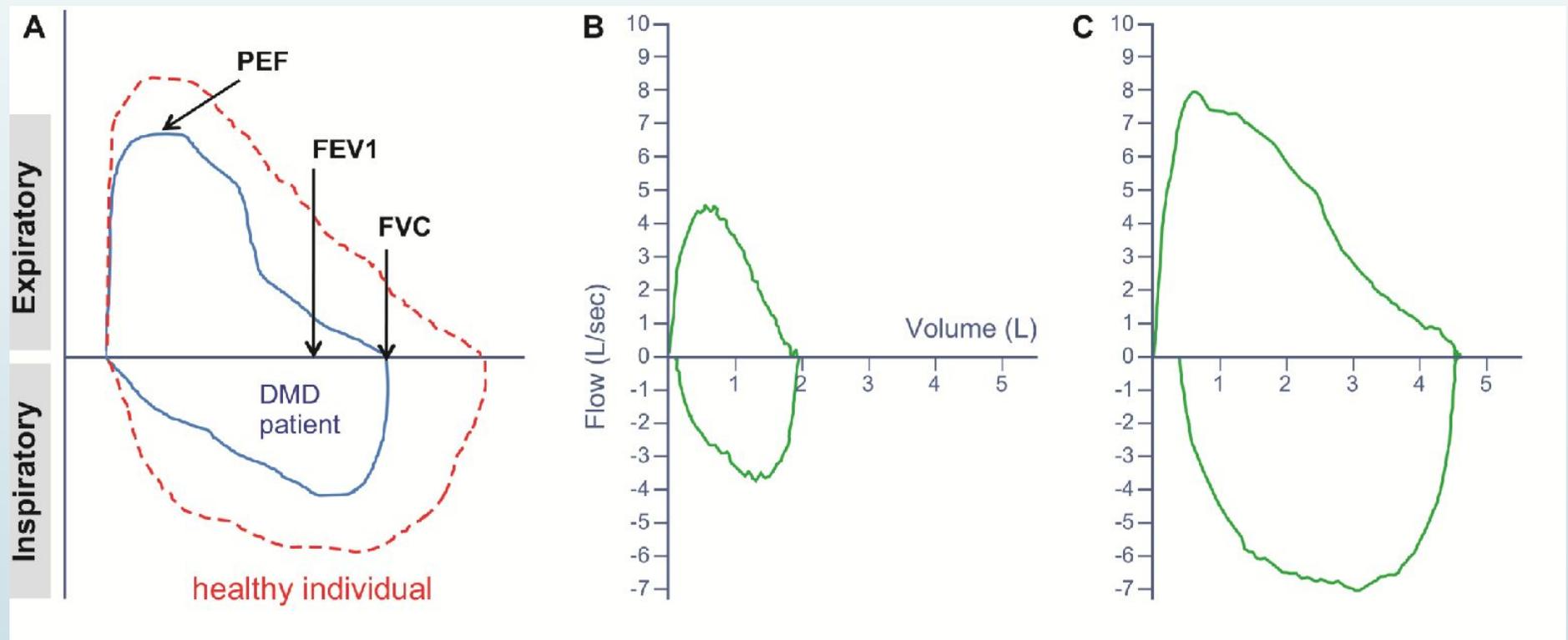
- Наследственная оптическая нейропатия Лебера (LHON):
- Миодистрофия Дюшенна
- Первичная прогрессирующая МС

# Необходимость в лечении респираторных проблем при миодистрофии Дюшенна

- Медицинские осложнения включают неэффективный кашель, ночную гиповентиляцию, нарушение сна, нарушение дыхания и, в конечном счете, дневную дыхательную недостаточность
- С возрастом у пациентов с МДД развиваются сердечные и респираторные осложнения, которые становятся опасными для жизни



# Снижение показателей дыхательной функции при миодистрофии Дюшенна



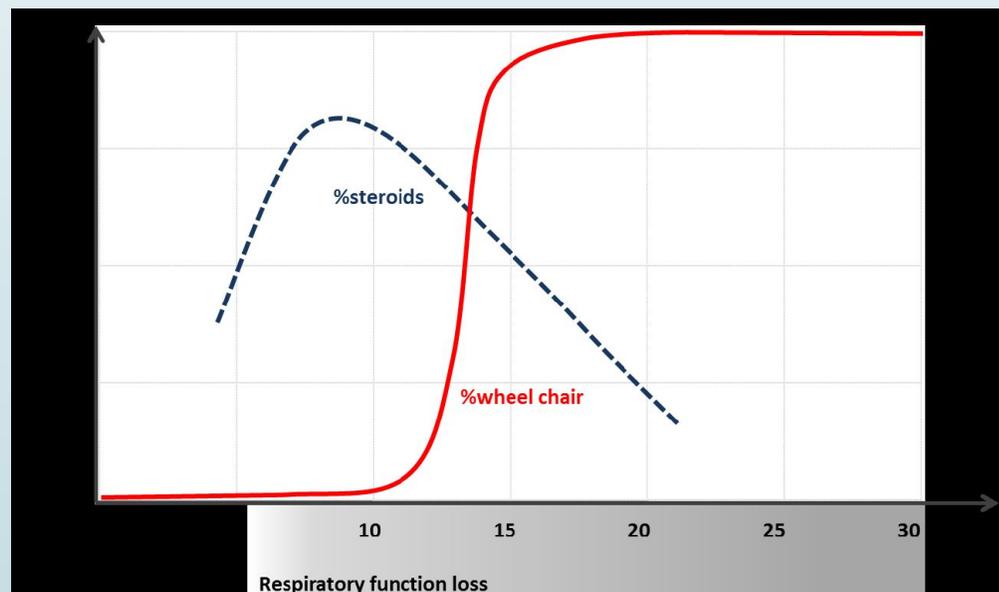


# Предпочтительное лечение пациентов для сохранения легочной функции

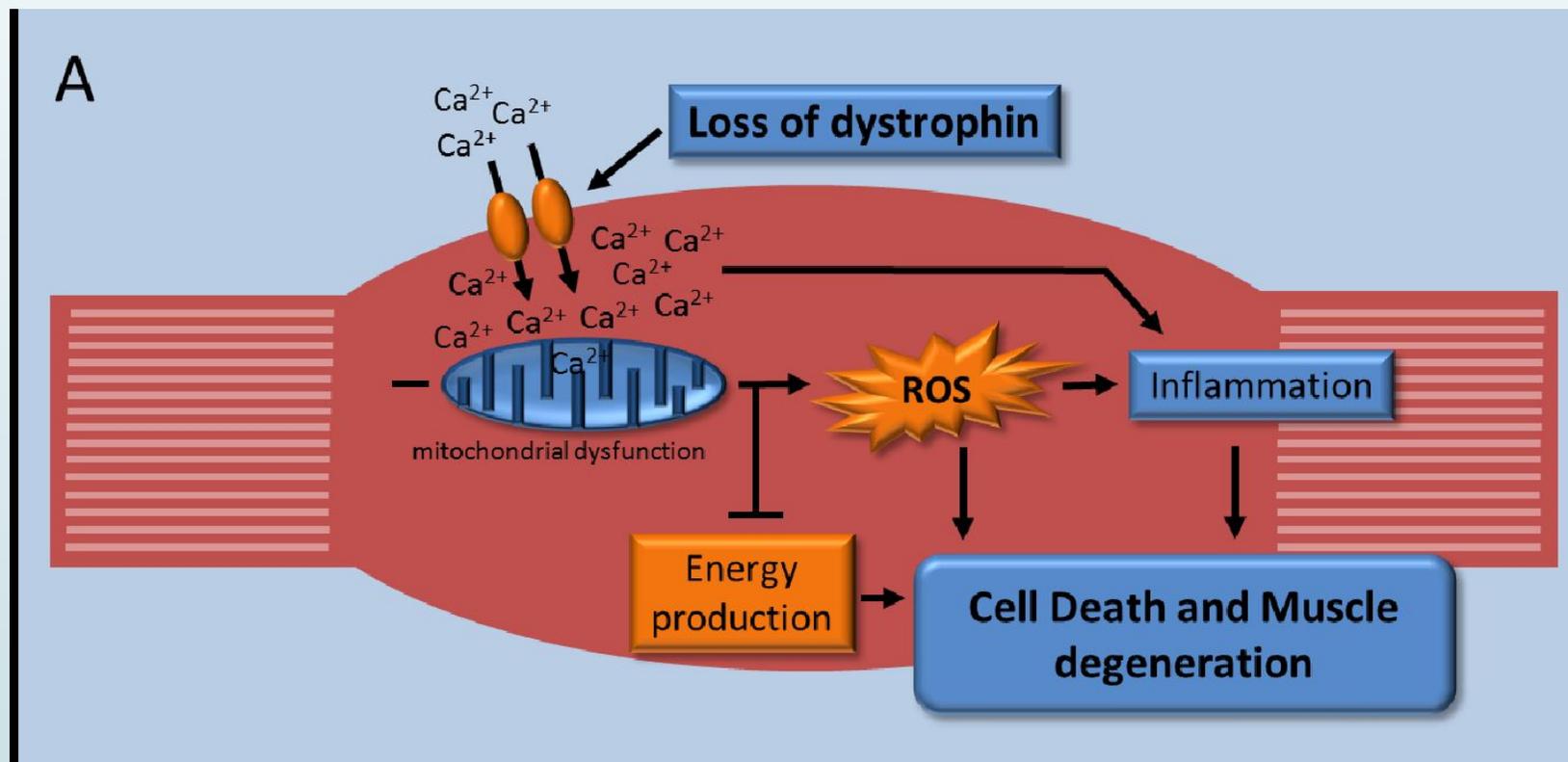
- Опрос, проведенный РПМД с учетом интересов пациентов, проводился под руководством сообщества
- Сосредоточьтесь на приоритетах лечения для аспектов болезни, не связанных напрямую с функцией скелетных мышц
- 155 участников (85% пациентов / опекунов)
- Лечение легочных заболеваний (кашель, профилактика инфекций дыхательных путей) было высокоориентировано на пациентов / опекунов

# Срочная медицинская потребность для пациентов, неспособных принимать стероиды

- С возрастом меньше пациентов переносят стероиды (побочные эффекты)
- ~ 40% пациентов 10 лет и старше не используют стероиды
- В настоящее время для этой группы пациентов с МДД нет лечения



# Митохондриальное повреждение при МДД

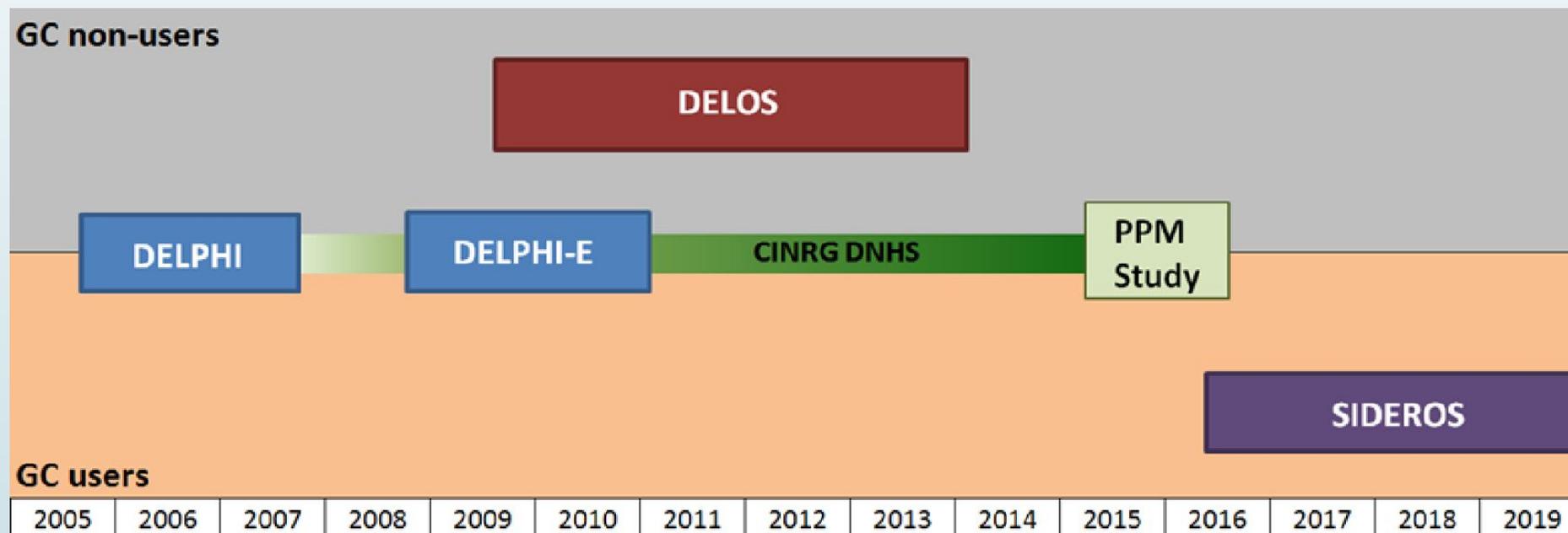




# Механизм действия идебенона

- Потеря дистрофина
- Нарушение обмена кальция
- Митохондриальная дисфункция
- Активные формы кислорода АТФ
- Гибель клеток и мышечная дегенерация

# Интенсивная программа исследований идебенона при миодистрофии Дюшенна

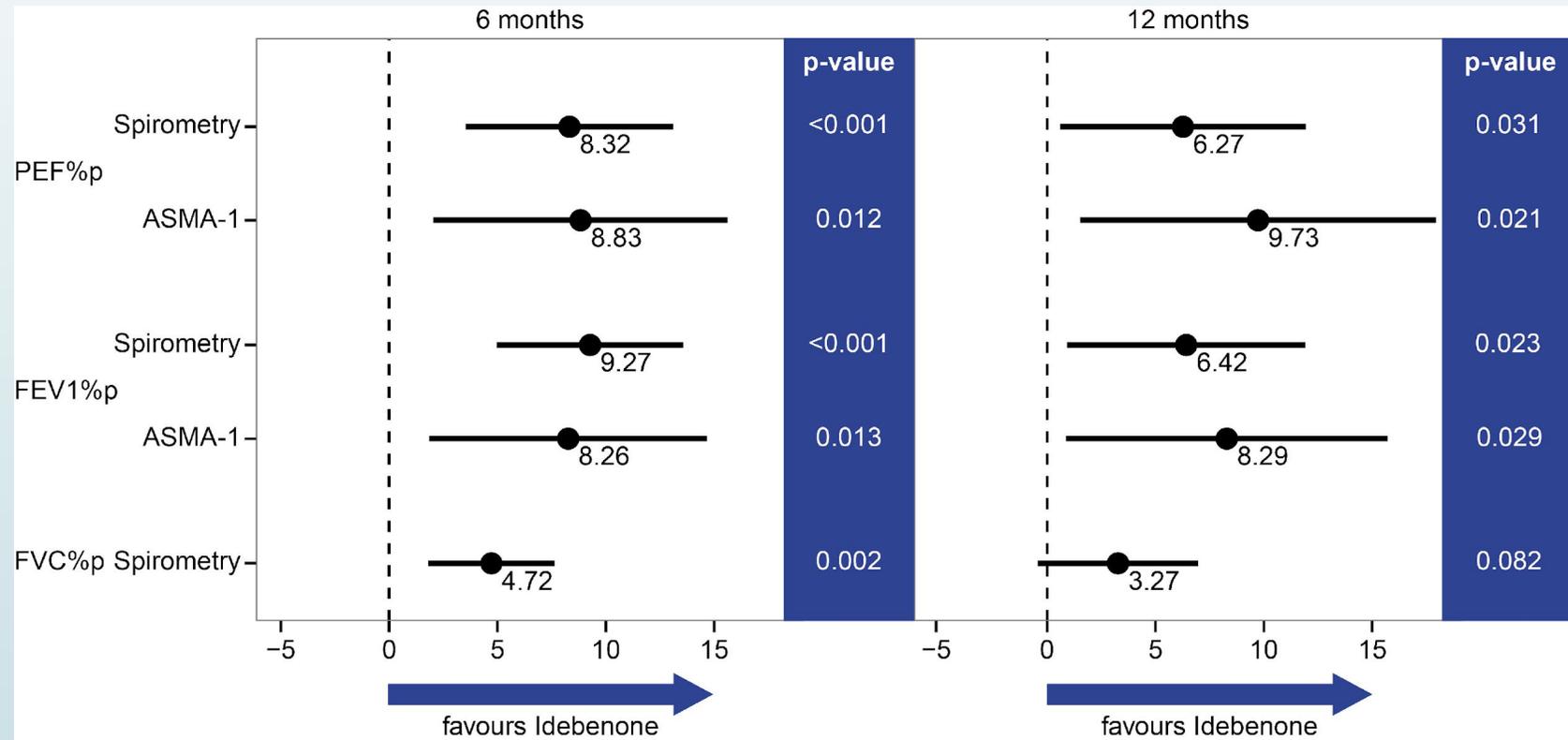




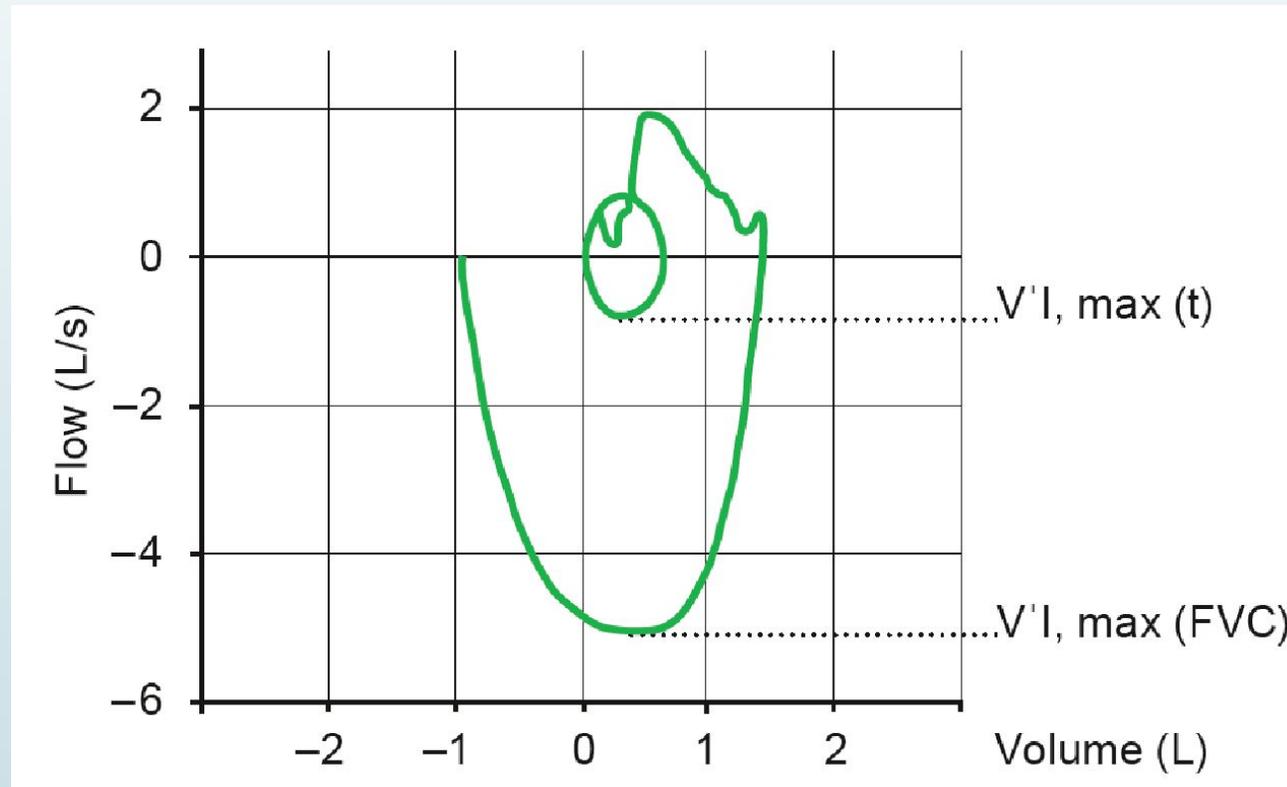
# Фаза 3 исследования: лечение и пациенты

- Пациенты:
  - Возраст 10-18 лет
  - С любыми мутациями
  - Не принимают стероиды
  - 92% потеряли способность к передвижению
- Лечение
  - Раксон 900 мг/день, 31
  - Плацебо, 33
  - Средний возраст 14,3 года
  - Продолжительность лечения 12 месяцев

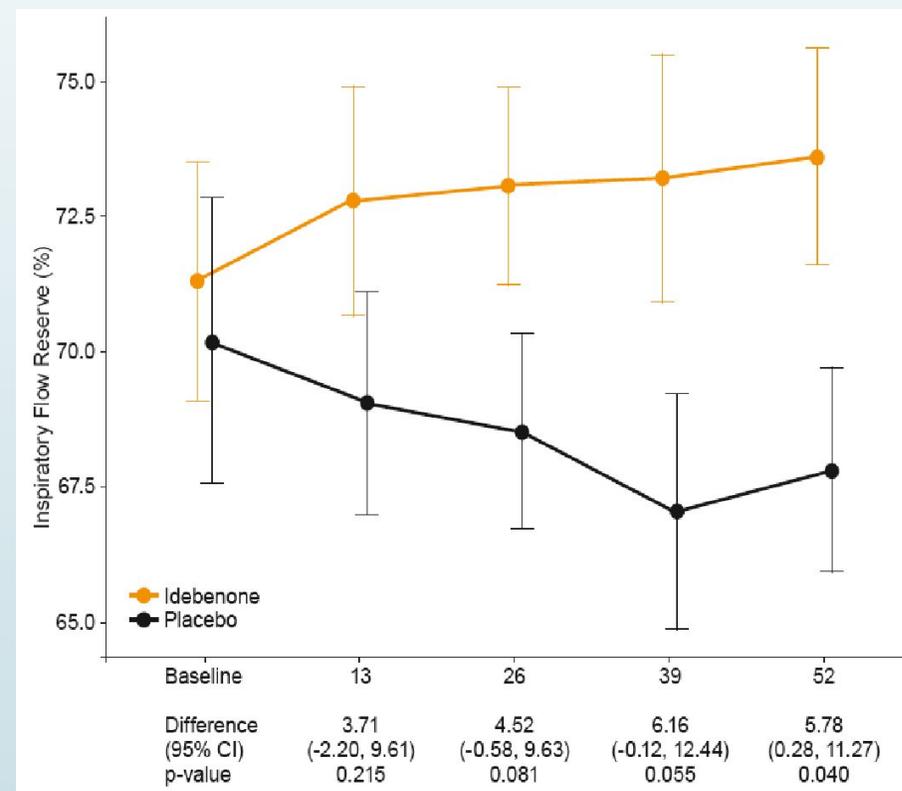
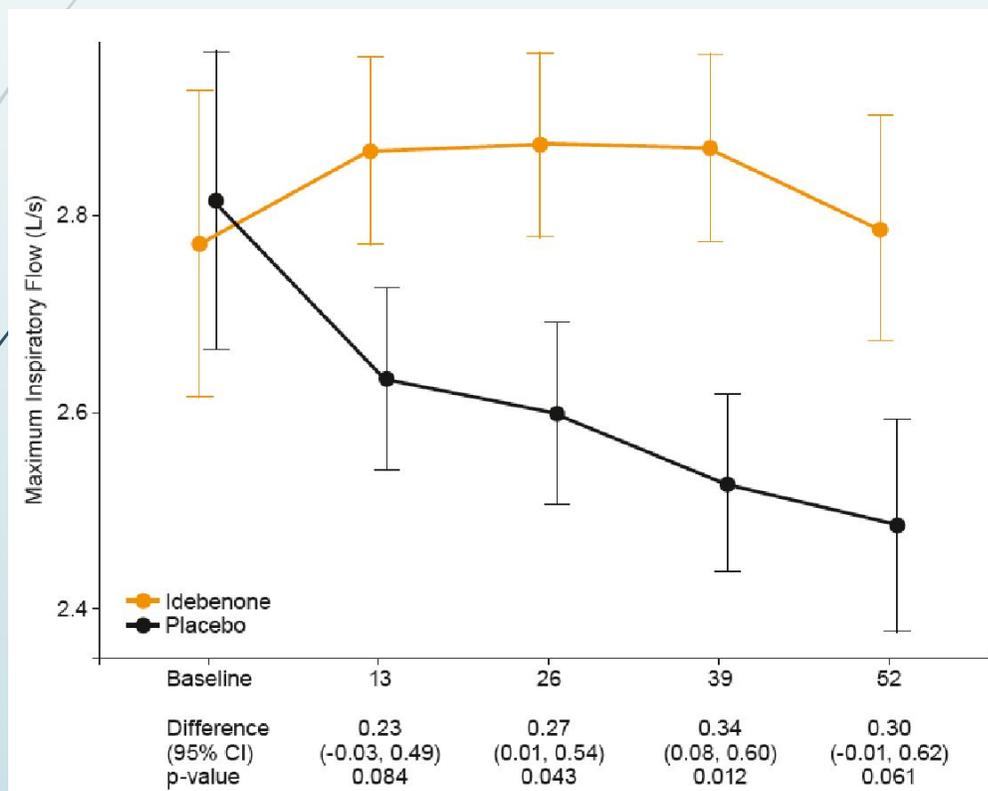
# Раксон замедляет потерю экспираторной функции



# Инспираторная функция также улучшается при миодистрофии Дюшенна



# Раксон также сохраняет инспираторную функцию

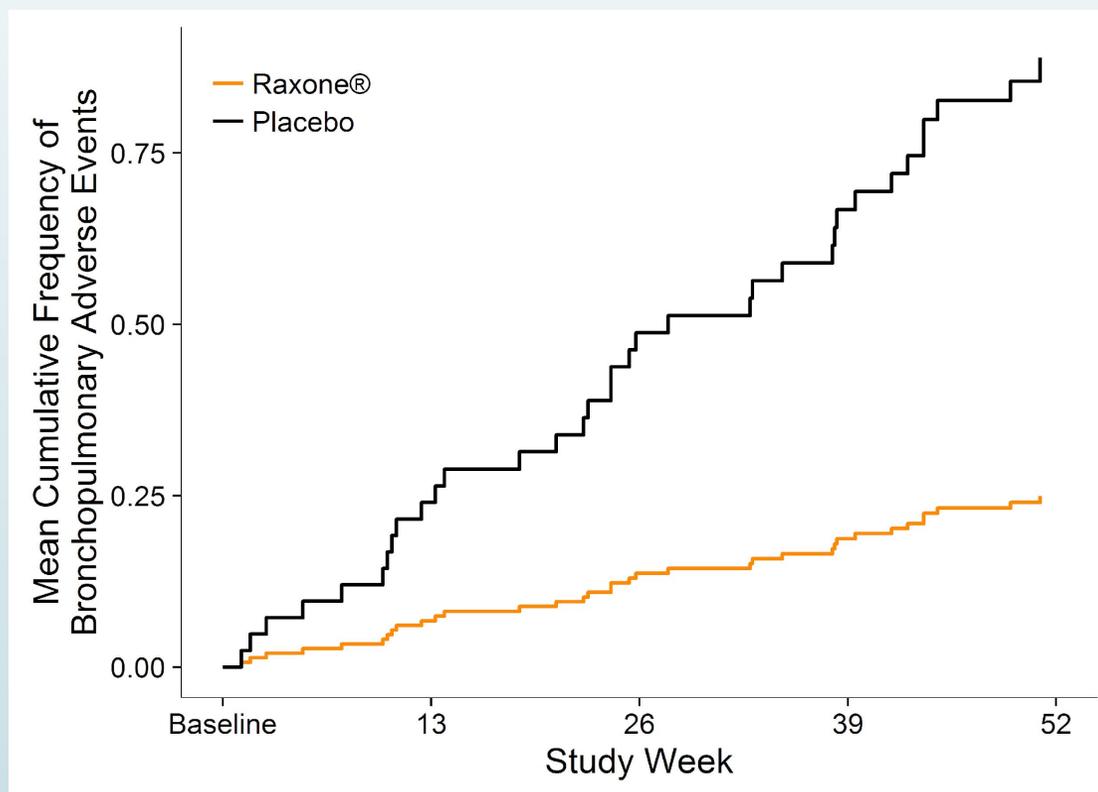


## Меньшее количество пациентов, получавших Раксон, имели снижение пиковой скорости кашля меньше критической

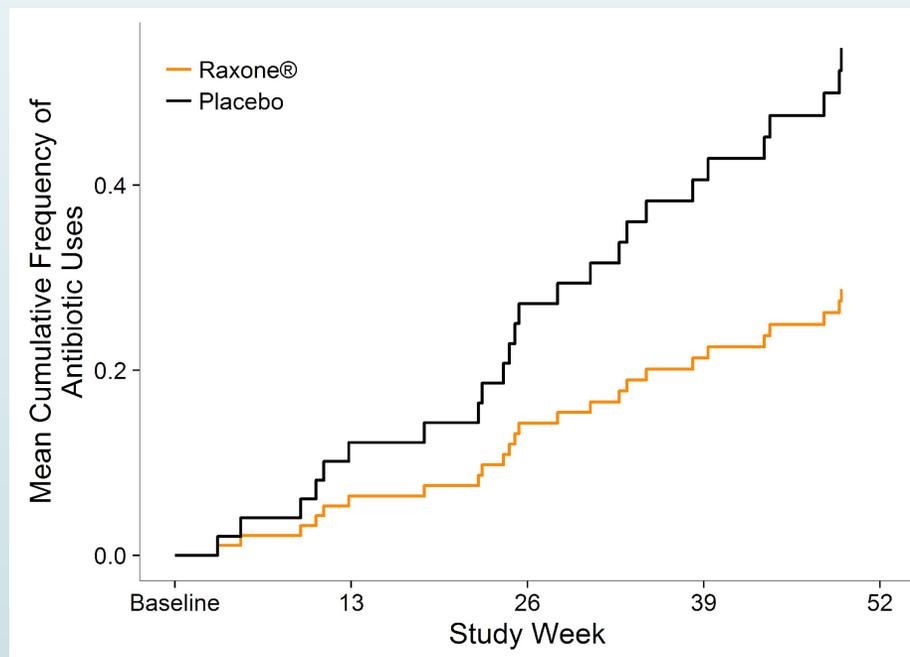
- Когда скорость кашля меньше 160 л/мин, кашель становится не эффективен для отхождения мокроты.

	Раксон	Плацебо
Более 160 л/мин	26	33
Менее 160л/мин	1	6

Меньшее количество пациентов, получавших Раксон, имели бронхопультмональные осложнения (инфекции)



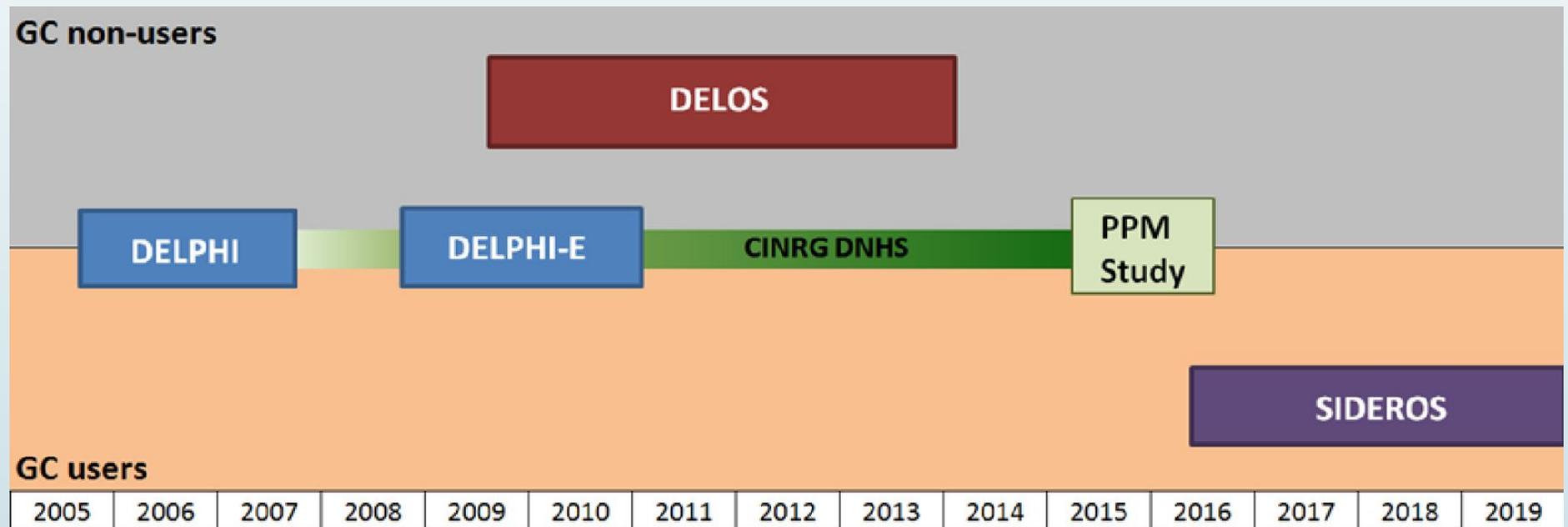
# Меньшее количество пациентов, получавших Раксон, использовали антибиотики для лечения инфекций дыхательной системы



# Результаты исследования

- Исследование фазы 3 соответствовало его первичной конечной точке
- Поддерживающие доказательства эффективности от вторичных конечных точек
- Исследование продемонстрировало последовательный эффект лечения идебеноном (Раксон) на функцию выдоха и вдоха
- Предоставляет подтверждающие доказательства эффективности в клинически значимых оценках (например, пик кашля, FVC)
- Демонстрирует клинически значимое воздействие бронхолегочной болезни и использования антибиотиков

# Новое исследование Раксона у пациентов с МДД с использованием сопутствующих глюкокортикоидов





# Задача:

- Оценка эффективности идебенона (Raxone®) по сравнению с плацебо в замедлении потери функции дыхания у пациентов с МДД, принимающих глюкокортикоиды (ГК)
- 

# Исследователи

- Ведущий исследователь в Европе: Д-р G Buuse (Лёвен, Бельгия)



- Ведущий исследователь Северной Америки: Д-р О. О. Майер (СНОР, Филадельфия)





Исследование будет проводиться в 50  
центрах в США и Европе  
Более подробная информация доступна  
на [Clinicaltrials.gov](https://ClinicalTrials.gov)

Birmingham, Alabama

Phoenix, Arizona

Little Rock, Arkansas

Los Angeles, California

Sacramento, California

San Bernardino, California

Washington, DC

Tampa, Florida

Atlanta, Georgia

Indianapolis, Indiana

Fairway, Kansas

Baltimore, Maryland

Boston, Massachusetts

Charlotte, North Carolina

Cincinnati, Ohio

Philadelphia, Pennsylvania

Salt Lake City, Utah

# Раксон в лечении МДД

- Существует значительная доля пациентов, которые не могут переносить глюкокортикоиды в то время, когда имеется потеря функции легких
- Существует срочная неудовлетворенная медицинская потребность замедлять снижения легочной функции у этих пациентов
- Имеющиеся данные показывают, что исследуемый препарат, раксон, замедляет потерю функции легких у пациентов, не использующих глюкокортикоиды
- Первоначальная заявка на официальные утверждения для использования в этой группе пациентов
- Раксон испытывали у пациентов без ограничения вида мутации или статуса болезни (то есть не амбулаторный)
- Раксон- это пероральный препарат (2 таблетки, 3 раза в день)
- Открыто новое исследование (SIDEROS) для исследования эффективности
- раксона по результатам легочной функции у пациентов, использующих сопутствующие глюкокортикоиды.



Переведено проектом Мой Мио  
<http://mymio.org>

Оригинал презентации:  
[http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=Connect\\_conference\\_presentations\\_16](http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=Connect_conference_presentations_16)