

Νέα θεραπεία για τους ασθενείς με σύνδρομο Alagille

 [iatronet.gr/article/117264/nea-therapeia-gia-toys-astheneis-me-syndromo-alagille](https://www.iatronet.gr/article/117264/nea-therapeia-gia-toys-astheneis-me-syndromo-alagille)

Δέσποινα Καραγιαννοπούλου

20 Ιουνίου 2023

Τρίτη, 20 Ιουνίου 2023, 08:30

Δέσποινα Καραγιαννοπούλου
Επιχειρηματικό Ρεπορτάζ Υγείας

Η ρυθμιστική αρχή των ΗΠΑ έδωσε το πράσινο φως **στο odevexibat να χρησιμοποιηθεί ως θεραπεία για σοβαρό κνησμό (φαγούρα) σε ασθενείς ηλικίας 12 μηνών και άνω με σύνδρομο Alagille, μια διαταραχή που έχει ως αποτέλεσμα τη παρεμπόδιση της ροής της χολής από το ήπαρ στο λεπτό έντερο.**

Το σκεύασμα είναι ένας άπαξ ημερησίως, μη συστηματικός αναστολέας μεταφοράς χολικού οξέος, ο οποίος είχε ήδη εγκριθεί για τη θεραπεία της σπάνιας ηπατικής διαταραχής οικογενούς ενδοηπατικής χολόστασης (PFIC).

Το φάρμακο βρίσκεται επίσης σε τελικό στάδιο ανάπτυξης για την παιδιατρική ηπατική διαταραχή της χοληφόρου ατρησίας (BA), με τα αποτελέσματα να αναμένονται το επόμενο έτος.

Η **Ipsen** είπε ότι θα διαθέσει αμέσως το φάρμακο σε επιλέξιμους ασθενείς με σύνδρομο Alagille στις ΗΠΑ και βρίσκεται στα τελικά στάδια της ρυθμιστικής αναθεώρησης στην ΕΕ, με την απόφαση να αναμένεται στο δεύτερο εξάμηνο του τρέχοντος έτους.

Το σύνδρομο Alagille προκαλείται από μια μετάλλαξη στο γονίδιο JAG1, με συμπτώματα που εμφανίζονται γενικά στα δύο πρώτα χρόνια της ζωής. Προκαλεί ηπατική βλάβη, που οδηγεί σε ίκτερο και κνησμό, καθώς και άλλες επιπτώσεις, όπως καθυστερημένη ανάπτυξη, δερματικές ανωμαλίες και καρδιαγγειακές επιπλοκές.

Ο κνησμός είναι ευρέως γνωστό ότι είναι ένα από τα πιο εξουθενωτικά συμπτώματα της νόσου, ιδιαίτερα στα μικρά παιδιά, και είναι ένας από τους κύριους μοχλούς για τους ασθενείς να αναζητήσουν μεταμόσχευση ήπατος.

Στη δοκιμή φάσης 3 ASSERT, **το 90% των ασθενών ανταποκρίθηκαν στο σκεύασμα με μείωση των συμπτωμάτων κνησμού και το φάρμακο έδειξε επίσης ότι μειώνει τα χολικά οξέα του ορού, έναν βιοδείκτη για τη νόσο.** Το φάρμακο ήταν επίσης καλά ανεκτό, με τη διάρροια να εμφανίζεται σημαντικά πιο συχνά από το εικονικό φάρμακο.

Προς το παρόν, ο κνησμός στο σύνδρομο Alagille αντιμετωπίζεται με φάρμακα εκτός ετικέτας, όπως η χολεστυραμίνη, η ριφαμπίνη, η ναλτρεξόνη, η σεραλίνη και τα αντιισταμινικά, αλλά αυτά μπορεί να είναι αναποτελεσματικά και να προκαλέσουν παρενέργειες.

Πηγές:

<https://pharmaphorum.com/>

Ειδήσεις υγείας σήμερα

Παγκόσμιο Συνέδριο για την Εφαρμογή του Διεθνούς Κώδικα Εμπορίας υποκατάστατων μητρικού γάλακτος

Καρκίνος νεφρού: Σημαντική η έγκαιρη διάγνωση

Ελληνική πατέντα ανιχνεύει τη φυματίωση στον εκπνεόμενο αέρα

Οι ασθενείς με προβλήματα στις αρθρώσεις των γονάτων δεν προτιμούν τις φυσιοθεραπείες [μελέτη]

[iatronet.gr/article/117262/oi-astheneis-me-provlhmata-stis-arthroseis-ton-gonaton-den-kanoy-n-fysiotherapeies-meleth-](https://www.iatronet.gr/article/117262/oi-astheneis-me-provlhmata-stis-arthroseis-ton-gonaton-den-kanoy-n-fysiotherapeies-meleth-)

Φίλιππος Ζάχαρης

19 Ιουνίου 2023

Δευτέρα, 19 Ιουνίου 2023, 15:13

Φίλιππος Ζάχαρης

Ειδικά ρεπορτάζ - Σύλλογοι Ασθενών και ΜΚΟ

Περίπου το ήμισυ των ανθρώπων σε ηλικία εργασίας έχουν προβλήματα με τις αρθρώσεις. Οι βλάβες στις αρθρώσεις του ισχίου και του γόνατος είναι οι πιο συχνές. Οι φυσιοθεραπείες συνιστώνται ως το σημαντικότερο αντίμετρο πριν από την αντικατάσταση με τεχνητή άρθρωση.

Προφανώς όμως μόνο ένα μικρό ποσοστό των ασθενών με προβλήματα στις αρθρώσεις του γόνατος τις κάνει. Αυτό είναι το αποτέλεσμα νέας μελέτης από Αυστριακούς εμπειρογνώμονες.

Ο πρώτος συγγραφέας της μελέτης, Jean-Pascal Grenier, από το Πανεπιστήμιο του Δούναβη στο Κρεμς, ο οποίος εργάζεται επίσης στο Ινστιτούτο Έρευνας Αποκατάστασης Ludwig Biontzmann στη Βιέννη, και οι συν-συγγραφείς της μελέτης προσπάθησαν να αναλύσουν τη συχνότητα των φυσιοθεραπειών από ασθενείς με σοβαρά προβλήματα στις αρθρώσεις των γονάτων πριν από την αντικατάσταση με τεχνητή άρθρωση σε 18 κλινικές μελέτες με 579.718 συμμετέχοντες.

Η αρχική κατάσταση, σύμφωνα με τους επιστήμονες στο επιστημονικό περιοδικό "Musculoskeletal Care": "Λόγω της δημογραφικής αλλαγής, η επίπτωση της αρθροπάθειας του γόνατος και η συχνότητα της τεχνητής ολικής αντικατάστασης του γόνατος αυξάνονται σταθερά".

Η ιατρική έχει από καιρό αντιδράσει σε αυτό. Σύμφωνα με τους ειδικούς, "οι κατευθυντήριες γραμμές κλινικής πρακτικής για τη θεραπεία των αρθρώσεων του γόνατος συνιστούν σταθερά μη χειρουργικές παρεμβάσεις, όπως η άσκηση, η εκπαίδευση και η μείωση της παχυσαρκίας".

Τέτοια μέτρα μπορούν συχνά να καθυστερήσουν τουλάχιστον την ανάγκη για επεμβατική επίλυση με τεχνητή άρθρωση του γόνατος, που περιλαμβάνει μια σοβαρή επέμβαση και επίσης έναν ορισμένο κίνδυνο. Σε συνδυασμό με τακτικές εξετάσεις, θεραπεία πόνου και φαρμακευτική αγωγή για τυχόν φλεγμονή που εμφανίζεται, τα προβλήματα αυτά μπορούν συχνά να αντιμετωπιστούν.

Οι συγγραφείς της μελέτης ανέλυσαν, λοιπόν, τα δεδομένα από 18 μελέτες με σχεδόν 600.000 εξεταζόμενους. Το αποτέλεσμα, σύμφωνα με τους επιστήμονες: "Η συχνότητα της φυσιοθεραπείας πριν από την αντικατάσταση τεχνητού γόνατος κυμαινόταν μεταξύ 10% και 73%. Μόνο σε δύο μελέτες η συχνότητα ήταν μεγαλύτερη από 60%. Οι γυναίκες, το υψηλότερο εισόδημα, η καλύτερη κοινωνικοοικονομική κατάσταση, η ανώτερη εκπαίδευση και η μεγαλύτερη ηλικία σχετιζόνταν με συχνότερη φυσιοθεραπεία".

Σε κάθε περίπτωση, η καλύτερη "συντηρητική" ιατρική φροντίδα των ασθενών με προβλήματα στις αρθρώσεις του γόνατος θα ήταν εξαιρετικά σημαντική. Εξάλλου, σήμερα στην Αυστρία υπάρχουν συχνά μεγάλοι χρόνοι αναμονής για χειρουργικές επεμβάσεις.

Ειδήσεις υγείας σήμερα

Νέα θεραπεία για τους ασθενείς με σύνδρομο Alagille

Ελληνική πατέντα ανιχνεύει τη φυματίωση στον εκπνεόμενο αέρα

Παγκόσμιο Συνέδριο για την Εφαρμογή του Διεθνούς Κώδικα Εμπορίας υποκατάστατων μητρικού γάλακτος

Ελληνική πατέντα ανιχνεύει τη φυματίωση στον εκπνεόμενο αέρα

[iatronet.gr/article/117274/ellhnikh-patenta-anihneyei-th-fymatiosh-ston-ekpneomeno-aera](https://www.iatronet.gr/article/117274/ellhnikh-patenta-anihneyei-th-fymatiosh-ston-ekpneomeno-aera)

Βασίλης Ιγνατιάδης

20 Ιουνίου 2023

Τρίτη, 20 Ιουνίου 2023, 08:00

Βασίλης Ιγνατιάδης

Ανταποκριτής στη Θεσσαλονίκη

Ερευνητικό project μιας ελληνικής startup εταιρείας στη Θεσσαλονίκη προσδοκά να φέρει την επανάσταση στη διάγνωση της φυματίωσης: Με ένα φύσημα του ασθενή στο στόμιο της συσκευής που θα μοιάζει με αυτή του αλκοτέστ, ο πνευμονολόγος θα μπορεί μέσα σε δευτερόλεπτα να έχει μια ένδειξη - αν όχι διάγνωση - ότι φέρει το μυκοβακτήριο της φυματίωσης. Η πειραματική εφαρμογή του καινοτόμου τεστ **TB Scan** στο εργαστήριο με τη μέθοδο του αυτοφθορισμού εξέπεμψε άκρως ενθαρρυντικά μηνύματα, με τους ερευνητές να εκτιμούν πως θα έχει ευαισθησία της τάξης του 80% με 90%, παρόμοια των μοριακών PCR που εφαρμόζονται σήμερα στις πνευμονολογικές κλινικές. Η προκλινική μελέτη που θα γίνει στο νοσοκομείο "Γ. Παπανικολάου", παράλληλα και συγκριτικά με τα μοριακά τεστ ανίχνευσης, θα αποτελέσει το "crash test" της πολλά υποσχόμενης μεθόδου.

Ο **Αλέξανδρος Αλεξόπουλος** (φωτογραφία), χημικός μηχανικός, κύριος Ερευνητής του Εθνικού Κέντρου Έρευνας και Τεχνολογικής Ανάπτυξης και συνιδρυτής της νεοφυούς εταιρίας RespiBit που "τρέχει" το project, μιλά στο **iatronet.gr** για τους απεριόριστους δρόμους εφαρμογής που διανοίγονται, εφόσον επιβεβαιωθεί στις μελέτες η ακρίβεια της μεθόδου: Από νοσοκομεία μέχρι πνευμονολογικά ιατρεία και από pre-screening σε camp προσφύγων μέχρι εφαρμογή προγραμμάτων ανίχνευσης στο μαζικό πληθυσμό, σε περιοχές του πλανήτη με έξαρση φυματίωσης, όπως Αφρική και η Ινδία.

"Θαύματα δεν γίνονται"

Η φυματίωση, που ήταν η πρώτη αιτία θανάτου από λοιμώδη νοσήματα πριν από το ξέσπασμα της COVID-19, βρίσκεται **σε φάση επανάκαμψης**, λόγω κυρίως της πανδημίας. Η ανίχνευση του μυκοβακτηρίου γίνεται σε εξειδικευμένα εργαστήρια και χρειάζεται να περάσουν από αρκετές ώρες μέχρι και εβδομάδες για την εξαγωγή των αποτελεσμάτων, ανάλογα με τη εφαρμοζόμενη μέθοδο (μοριακή PCR ή καλλιέργεια κυττάρων από σωματικά υγρά). Μια από τις ανησυχίες των επαγγελματιών υγείας στις πνευμονολογικές κλινικές είναι να μην κολλήσουν οι ίδιοι από αδιάγνωστους ασθενείς, κάτι που θα τους θέσει σε διαδικασία πολύμηνης θεραπείας.

Όταν ένας πνευμονολόγος ρώτησε τους υπεύθυνους της startup αν μπορούν να αναπτύξουν μια μέθοδο που θα μπορεί να ανιχνεύσει το μυκοβακτήριο στον αέρα σε πραγματικό χρόνο, η πρώτη αυθόρμητη αντίδραση ήταν "όχι, δεν γίνονται θαύματα". Ωστόσο, μπήκαν σε διαδικασία διερεύνησης και διαπίστωσαν ότι δεν ήταν αδύνατο.

"Έγιναν κάποιες συζητήσεις για τον αυτοφθορισμό σε υγρά δείγματα και ζητήματα που αφορούν την ευαισθησία. Το βάλαμε κάτω, το αναλύσαμε στο χαρτί και είπαμε ότι τελικά δεν ήταν κάτι ακατόρθωτο. Βρισκόταν στο όριο του να γίνεται. Οι πνευμονολόγοι ενθουσιάστηκαν με αυτή την προοπτική", αναφέρει ο κ. Αλεξόπουλος. Η Εταιρεία Νοσημάτων Θώρακος Ελλάδος δέχτηκε να χρηματοδοτήσει με ένα ποσό την έρευνα, ενώ ο καθηγητής Φυσικής του Πανεπιστημίου Ιωαννίνων, **Κωνσταντίνος Κοσμίδης**, άνοιξε τις πόρτες του Εργαστηρίου για τα απαραίτητα πειράματα.

Αυτά σχεδιάστηκαν μέσα στην πανδημία και έπειτα από μια αποτυχημένη απόπειρα το Δεκέμβριο του 2021, ακολούθησε επανασχεδιασμός και επιτυχημένη εφαρμογή τον Φεβρουάριο του 2022, σε ανάλογο του μυκοβακτηρίου, με πολύ καλή ευαισθησία. Ένα χρόνο μετά ετοιμάστηκε η πατέντα και υποβλήθηκε στις ΗΠΑ, ενώ σχεδιάζεται να γίνει κάτι ανάλογο και για την Ευρώπη, που έχει καθιερώσει πιο πολύπλοκους κανονισμούς για τις διαγνωστικές μεθόδους αναπνευστικών ασθενειών.

Τα επόμενα βήματα

Σήμερα, οι ερευνητές προσδοκούν να εξασφαλίσουν χρηματοδότηση για να περάσουν στην επόμενη φάση, που είναι η προσαρμογή του τεστ σε μια φορητή αναπνευστική συσκευή, σε μέγεθος παρόμοιο με του αλκοτέστ ή το πολύ σε μέγεθος μιας βαλίτσας. Αυτό αποτελεί προϋπόθεση για την έναρξη της προκλινικής δοκιμής στο νοσοκομείο Παπανικολάου. Το project είναι μεταξύ των 10 προτάσεων που έχουν περάσει στην Γ' (τελική) Φάση του Διαγωνισμού Καινοτομίας και Τεχνολογίας της Εθνικής Τράπεζας και στις 7 Ιουλίου αναμένονται τα τελικά αποτελέσματα.

Αφού το τεστ πάρει τη μορφή φορητής συσκευής, θα αρχίσει να εφαρμόζεται στην Πνευμονολογική Κλινική του νοσοκομείου Παπανικολάου, παράλληλα με τη μοριακή μέθοδο. "Από τα αποτελέσματα του πειράματος στα Γιάννενα εκτιμούμε ότι μπορούμε να έχουμε μια ευαισθησία παρόμοια με των μοριακών μεθόδων. Εκεί θα γίνεται μια συγκριτική εφαρμογή, ώστε να το διαπιστώσουμε με ακρίβεια και να πάρουμε πιστοποίηση", αναφέρει ο κ. Αλεξόπουλος, προσθέτοντας πως το επόμενο και πιο φιλόδοξο βήμα θα είναι η μετατροπή του καινοτόμου τεστ σε τελικό προϊόν. Αυτό απαιτεί περισσότερο χρόνο, αλλά και μια μεγάλη χρηματοδότηση από επενδυτές.

Πλεονεκτήματα, κόστος και εφαρμογές

Τα πλεονεκτήματα του τεστ ανίχνευσης του μυκοβακτηρίου της φυματίωσης στον αέρα συμπυκνώνονται στο τρίπτυχο: πιο γρήγορα, πιο εύκολα, πιο οικονομικά. "Εφόσον επαληθευτούν οι προβλέψεις μας για την ευαισθησία του, δεν θα χρειάζεται πλέον το εργαστήριο, αφού η ανίχνευση θα γίνεται επί τόπου", επισημαίνει ο κ. Αλεξόπουλος.

Σύμφωνα με τον ίδιο, το κόστος απόκτησης της συσκευής έχει προϋπολογιστεί μεταξύ 8.000 και 10.000 ευρώ, ενώ μετά την αγορά του το κόστος θα περιορίζεται στα 60 με 80 σεντς του στομίου μιας χρήσης. Στο τέλος της μέρας η συσκευή θα χρειάζεται καθαρισμό εσωτερικών τοιχωμάτων.

Ως προς τα πεδία εφαρμογής, είναι απεριόριστα: "Η πρώτη αγορά που θα στοχεύσουμε είναι οι πνευμονολόγοι και οι πνευμονολογικές κλινικές στην Ευρώπη. Το τεστ θα μπορούσε να είναι πολύ χρήσιμο για pre-screening σε δομές προσφύγων, όπου θα μπορεί να ανιχνεύσει ποιοι είναι πιθανό να έχουν φυματίωση και να τους οδηγήσει στο νοσοκομείο για περαιτέρω διερεύνηση". Σε βάθος χρόνου οι ερευνητές θέλουν να πάρουν και πιστοποίηση από τον ΠΟΥ για εφαρμογές σε μαζικό πληθυσμό στις χώρες μεγάλου επιπολασμού της φυματίωσης. "Επειδή θα είναι πολύ απλό στη χρήση του, θα μπορούσε και ένας εθελοντής με μια μικρή εκπαίδευση να το εφαρμόσει σε χωριά στην Αφρική, στην Ινδία και αλλού", καταλήγει.

Η RespiBit, με συνιδρυτές τους **Αλέξανδρο Αλεξόπουλο** και **Χριστόδουλο Σπάγκακα**, είναι μια νεοφυής εταιρεία στο χώρο της ψηφιακής υγείας, που προσφέρει εξατομικευμένη διαχείριση αναπνευστικών ασθενειών και επικεντρώνεται κυρίως στην έξυπνη παρακολούθηση χρόνιων αναπνευστικών ασθενειών (άσθμα, ΧΑΠ), αλλά και σε θέματα βιοασφάλειας σχετικά με μολυσματικές ασθένειες. Επιστημονικοί σύμβουλοι και ειδικοί συνεργάτες της είναι οι πνευμονολόγοι **Παναγιώτης Χατζηαποστόλου** και **Σταύρος Τρύφων**. Μια πρώτη παρουσίαση του project έγινε στις εργασίες του πρόσφατου 6^{ου} Πανελληνίου Συνεδρίου Νοσημάτων Θώρακος.

Ειδήσεις υγείας σήμερα

Νέα θεραπεία για τους ασθενείς με σύνδρομο Alagille

Καρκίνος νεφρού: Σημαντική η έγκαιρη διάγνωση

Παγκόσμιο Συνέδριο για την Εφαρμογή του Διεθνούς Κώδικα Εμπορίας υποκατάστατων μητρικού γάλακτος