

Nye legemidler ved EPP Hva er status per i dag?

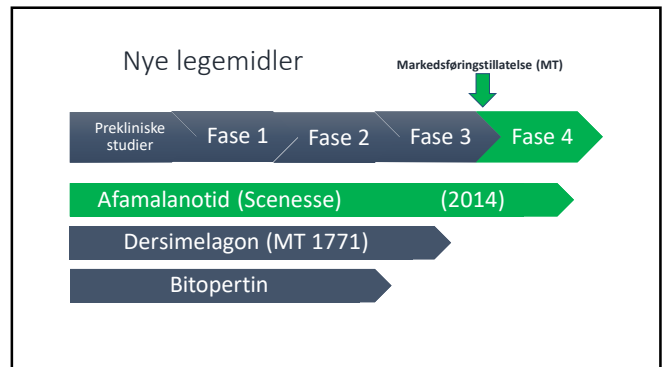


Linda E. Gilleshammer
Farmasøyt
Nasjonalt kompetansesenter for
porfyriskdommer (NAPOS)

Nasjonal kompetansetjeneste for
SJELDNE DIAGNOSER




1



2

Hvorfor gir EPP hudsymptomer?


- Et overskudd av porfyriner dannes i beinmargen
- Porfyrinene transporteres i de røde blodcellene ut i de små blodårene i huden
- Når lys treffer huden lekker de ut av de små blodårene og omdannes til reaktive forbindelser



3

Scenesse – øker lystoleransen



- Ligner kroppens eget hormon (melanocytstimulerende hormon)
- Binder seg til celler (melanocytene) i huden
- Melanocytene øker produksjonen av pigment (melanin)
- Pigmentene fordeler seg i huden og absorberer lys
- Mindre lys slipper inn til porfyrinene i huden



4

Scenesse



- Implantat som injiseres under huden en gang annenhver måned
- Effekt:
 - Øker tid ute før symptomer
 - Reduserer alvorlighetsgrad av hudsymptomer
 - Øker livskvalitet
- Bivirkninger:
 - Kvalme, hodepine, fatigue, økte føflekker og andre hudpigmenteringsforandringer.
- Tatt i bruk i en del land som Sveits, Nederland, Tyskland m. fler.
- pris 166 000,- per implantat (x 3-4 per år)

5

Dersimelagon – øker lystoleransen

- Samme prinsipp som Scenesse, men ligner ikke på kroppens eget hormon
 - Kan gis i tablettform
- Binder seg til celler (melanocytene) i huden
- Melanocytene øker produksjonen av pigment (melanin)
- Har også antioksidant effekt

6

Dersimelagon

- Fase 2 studier gjennomført.
 - Økt lystoleranse ble observert
- Resultater fra fase 3 studie (England, Italia, tyskland, spania, Finland, Sverige og Norge) ikke publisert ennå.
 - hvor lang tid i lys/utendørs før symptomer oppstår
 - Bivirkninger
- Nå oppfølgingsstudie –samme deltakere fortsette 24 mnd – sikkerhet og effekt.



7

Bitopertin – reduserer produksjonen av porfyriner

- Glycin er en viktig byggestein i porfyriner
- Bitopertin hemmer glycin i å komme seg inn i cellene der porfyriner dannes.
- Første legemiddel som har en sykdomsmodifiserende effekt.
- Foreløpige resultater:
 - reduksjon av symptomer
 - usikkert om effekten overgår placebo



8

Bitopertin

- Fase 2/3 studier pågår, i USA og Australia
- Foreløpige resultater
 - Redusert mengde protoporfyriner
 - Færre pasienter opplevde smertefulle hudreaksjoner
 - Tiden de kunne oppholde seg ute i lys var økt – men dette gjaldt også i placebogruppen
 - Dermed er resultatene usikre
 - Vanligste bivirkning var svimmelhet



9

ABCG2 hemmer

- Hindrer porfyriner i å komme ut av de røde blodcellene, og dermed ut i huden.
- Hindrer mulig også opphopning av porfyriner i leveren
- Foreløpig bare i museforsøk (Prekliniske studier)
- Neste steg er sikkerhet og effekt-studier
- Usikkert når og om dette vil kunne bli en behandlingsmetode



10