

Ελπιδοφόρα μηνύματα για τους πάσχοντες από κυστική ίνωση

Η κυστική ίνωση αποτελεί ένα συχνό κληρονομικό, πολυσυστηματικό νόσημα, ιδιαίτερα απειλητικό για τη ζωή, με κύρια εντόπιση στους πνεύμονες και στο πάγκρεας. Στο Δουβλίνο πραγματοποιήθηκε το 35ο Ευρωπαϊκό Συνέδριο για την Κυστική Ίνωση όπου παρουσιάστηκε ένα νέο φάρμακο για τη νόσο, το «Kalydeco», το οποίο βοηθά στη λειτουργία της πρωτεΐνης CFTR όταν αυτή φτάσει στην κυτταρική επιφάνεια και αποτελεί το πρώτο φαρμακευτικό σκεύασμα που μπορεί να καταπολεμήσει το υποκείμενο αίτιο της νόσου. Το νέο αυτό φάρμακο είναι χάπι και απευθύνεται μόνο σε όσους ασθενείς φέρουν τη μετάλλαξη G551D, η οποία χαρακτηρίζεται ως «gating» μετάλλαξη, δηλαδή μετάλλαξη που εμποδίζει την πρωτεΐνη CFTR να λειτουργήσει κανονικά στην κυτταρική επιφάνεια. Το φάρμακο έχει ήδη λάβει έγκριση από τον Αμερικανικό Οργανισμό Φαρμάκων, ενώ πρόσφατα έλαβε και θετική γνωμοδότηση από την αρμόδια επιτροπή του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων και αναμένεται να κυκλοφορήσει στις χώρες της Ε.Ε. σε περίπου τρεις μήνες, εφόσον λάβει και την τελική έγκριση από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή. Ηδη οι ερευνητές πρόκειται να πραγματοποιήσουν κλινικές δομικές σε ασθενείς που έχουν παρεμφερείς μεταλλάξεις με τη μετάλλαξη G551D και εκφράζουν την αισιοδοξία ότι το φάρμακο θα μπορεί να έχει θεραπευτικό αποτέλεσμα και γι' αυτούς.