

V tejto časti uvádzame vyvíjané lieky zamerané na **OPRAVU CFTR proteínu**.

Klinické účinky by mali zahŕňať zlepšenú funkciu pľúc (merané parametre), menej zápalov, lepšie prospievanie.

| Spoločnosť | Názov lieku | Terapeutický prístup | Posledné správy | Klinické testy | | | | Liek dostupný pre pacientov |
|-----------------------------|---|--|--|-------------------------------------|------------|----------|----------|-----------------------------|
| | | | | Predklinická fáza | Fáza jedna | Fáza dva | Fáza tri | |
| Vertex Pharmaceutical | Ivacaftor (Kalydeco) | Orálny liek na opravu chybného CFTR proteínu. Pomáha otvárať chloridový kanál na povrchu bunky, čím umožňuje prechod chloridov a solí z a do bunky. Prvý liek dostupný na trhu pod názvom Kalydeco . | Schválené už pre deti od 2 rokov pre 38 mutácií . Musíme bojovať o schválenie na Slovensku! | Ivacaftor (Kalydeco®) › | | | | ✓ |
| Vertex Pharmaceutical | Lumacaftor a Ivacaftor (Orkambi) | Kombinácia Ivacaftor , ktorý otvára chloridový kanál na povrchu bunky ako je popísané v bode vyššie a Lumacaftor , ktorý má opraviť chybný proteín CFRT a dopraviť ho na povrch bunky. Na trhu ako Orkambi . | Schválené na trhu od 6 rokov pre F508del homozygot . Schvaľuje sa pre vek 2 - 5 rokov. Musíme bojovať o schválenie na Slovensku! | Lumacaftor + ivacaftor (Orkambi®) › | | | | ✓ |
| Vertex Pharmaceutical | Tezacaftor a Ivacaftor | Tezacaftor je zložka, ktorá má presunúť chybný proteín CFTR na správne miesto na povrchu bunky v dýchacích cestách . Ivacaftor pomáha otvoriť chloridový kanál na povrchu bunky. | Pre F508del homozygot aj heterozygot je ukončená fáza 2. Práve prebieha fáza 2 a 3 . | Tezacaftor (VX-661) + ivacaftor › | | | | |
| Novartis | QBW251 | QBW251 je typ CFRT modulátora nazývaný potenciátor . Podobne ako Ivacaftor, napomáhal by otváraníu chloridového kanála na povrchu bunky. Je to tabletková forma. | Dokončená fáza 2a pre mutácie s čistočnou funkčnosťou chloridového kanála . | QBW251 › | | | | |
| Flatey Discovery Laboratory | FDL169 | Nový CFTR korektor . Má opraviť funkciu chybného CFTR proteínu. Opravený CFTR sa potom presunie na povrch bunky, kde funguje ako chloridový kanál. | V Európe prebieha štúdia na testovanie bezpečnosti pre F508del homozygot . | FDL169 › | | | | |
| Galapagos | GLPG2222 | Nový CFTR korektor . Má opraviť funkciu chybného CFTR proteínu. Opravený CFTR sa potom presunie na povrch bunky, kde funguje ako chloridový kanál. | Fáza 2a štúdia na testovanie bezpečnosti a znášanlivosti pre F508del homozygot . | GLPG2222 › | | | | |
| Vertex Pharmaceutical | VX-152+Tezacaftor +Ivacaftor | Program testuje nové korektory VX-152 a Tezacaftor. Korektory majú opraviť chybný CFTR proteín, aby sa dopravil na povrch bunky. Keď sa tam dopraví, Ivacaftor má pomôcť otvoriť chloridový kanál. | Práve prebieha fáza 2 pre F508del homozygot alebo heterozygot a mutácie s minimálnou funkciou chloridového kanála. | VX-152 + tezacaftor + ivacaftor › | | | | |
| Vertex Pharmaceutical | VX-440+Tezacaftor +Ivacaftor | Program testuje nové korektory VX-440 a Tezacaftor. Korektory majú opraviť chybný CFTR proteín, aby sa dopravil na povrch bunky. Keď sa tam dopraví, Ivacaftor má pomôcť otvoriť chloridový kanál. | Práve prebieha fáza 2 pre F508del homozygot alebo heterozygot a mutácie s minimálnou funkciou chloridového kanála. | VX-440 + tezacaftor + ivacaftor › | | | | |
| Vertex Pharmaceutical | VX-445+Tezacaftor +Ivacaftor | Program testuje nové korektory VX-445 a Tezacaftor. Korektory majú opraviť chybný CFTR proteín, aby sa dopravil na povrch bunky. Keď sa tam dopraví, Ivacaftor má pomôcť otvoriť chloridový kanál. | Prebieha fáza 1 a 2 na zistenie znášanlivosti VX-445. | VX-445 + tezacaftor + ivacaftor › | | | | |
| Vertex Pharmaceutical | VX-561 (predtým CTP-656) | VX-561 je nová verzia potenciátora Ivacaftor (Kalydeco) . Potenciátory sú zložky lieku, ktoré napomáhajú otvoriť chloridový kanál na povrchu bunky pre tok chloridov a solí. VX-561 má byť stabilnejší ako pôvodný Ivacaftor , čo umožní užívať ho raz denne. | Fáza 2 na testovanie bezpečnosti a účinnosti pre dospelých s hrdlavými mutáciami CFTR . | VX-561 (formerly CTP-656) › | | | | |
| Vertex Pharmaceutical | VX-659+Tezacaftor +Ivacaftor | Program testuje nové korektory VX-659 a Tezacaftor. Korektory majú opraviť chybný CFTR proteín, aby sa dopravil na povrch bunky. Keď sa tam dopraví, Ivacaftor má pomôcť otvoriť chloridový kanál. | Prebieha fáza 2 na testovanie bezpečnosti a znášanlivosti. | VX-659 + tezacaftor + ivacaftor › | | | | |
| Proteostasis Therapeutics | PTI-428 | PTI-428 je typ modulátora proteínu CFTR nazývaný zosilňovač . Zvyšuje množstvo proteínu CFTR v bunke, čo umožní lepšiu účinnosť ostatných liečiv, ako Ivacaftor (Kalydeco) a Lumacaftor (Orkambi). | Ukončená fáza 1 s pozitívnymi výsledkami na testovanie bezpečnosť a aj účinnosti. | PTI-428 › | | | | |
| ProQR Therapeutics | QR-010 | QR-010 je oligonukleotid . Má opraviť jednoreťazcovú mediátorovú RNA, ktorá kóduje proteín CFTR podľa predpisu DNA . To by viedlo k normálnemu proteínu CFTR. Podáva sa inhalačne . | V Novembri 2017 bola ukončená fáza 1b účinnosti a znášanlivosti s pozitívnymi výsledkami. Čakáme na spustenie fázy 2 . | QR-010 › | | | | |
| Proteostasis Therapeutics | PTI-801 | PTI-801 je nový korektor na opravu chybného proteínu CFTR . | Prebieha fáza 1 na určenie bezpečnosti a znášanlivosti. | PTI-801 › | | | | |
| Proteostasis Therapeutics | PTI-808 | PT-808 je typ modulátora CFTR nazývaný potenciátor . Uľahčuje otvorenie chloridového kanála na povrchu bunky. | Prebieha fáza 1 na určenie bezpečnosti a znášanlivosti. | PTI-808 › | | | | |
| Editas Medicine | Editas | Program zameraný na výskum opravy CFTR pomocou metódy CRISPR/Cas , čo je priamo úprava DNA . | Prebieha laboratórny výskum zameraný na vývoj tejto metódy. | Editas › | | | | |
| Genzyme / Sanofi | Genzyme / Sanofi | Program zameraný na objavenie nových možností opravy CFTR proteínu. | Prebieha laboratórny výskum zameraný na vývoj tejto metódy. | Genzyme/Sanofi › | | | | |
| Pfizer | Pfizer | Program zameraný na objavenie nových možností opravy CFTR proteínu. | Prebieha laboratórny výskum zameraný na vývoj tejto metódy. | Pfizer › | | | | |
| Reata | Reata | Program zameraný na objavenie nových možností opravy CFTR proteínu. | Prebieha laboratórny výskum zameraný na vývoj tejto metódy. | Reata › | | | | |
| South. Researc Ins. | Reata | Program zameraný na objavenie nových možností opravy CFTR proteínu. | Prebieha laboratórny výskum zameraný na vývoj tejto metódy. | Southern Research Institutes › | | | | |

Vertex Pharmaceutical <https://www.vrtx.com/>

Proteostasis Therapeutics <http://www.proteostasis.com/product-pipeline/cystic-fibrosis/>

ProQR Therapeutics <http://www.proqr.com/>

Galapagos <http://www.glp.com/clinical-pipelines>

**ORKAMBI
POTREBUJEME
NA SLOVENSKU!**

