

## **Ο αμερικανικός FDA έδωσε έγκριση για το πρώτο φάρμακο που μπορεί να καθυστερήσει την εμφάνιση σακχαρώδη διαβήτη τύπου 1**

Την Πέμπτη 17 Νοεμβρίου ο FDA (Food and Drug Administration) των ΗΠΑ ενέκρινε τον φαρμακευτικό παράγοντα Tzield (teplizumab) για την καθυστέρηση εμφάνισης σακχαρώδη διαβήτη τύπου 1 (ΣΔ1) σε ενήλικες και παιδιατρικούς ασθενείς 8 ετών και άνω που είναι υψηλού κινδύνου για εμφάνιση ΣΔ1. Υψηλού κινδύνου σημαίνει ότι έχουν τουλάχιστον 2 θετικά αυτοαντισώματα σχετιζόμενα με ΣΔ1 και ήπια υπεργλυκαιμία, αλλά χωρίς ανάγκη για ινσουλινοθεραπεία.

Οι Καθηγητές της Ιατρικής Σχολής του Εθνικού και Καποδιστριακού Πανεπιστημίου Αθηνών, **Σταυρούλα (Λίνα) Πάσχου** (Επίκουρη Καθηγήτρια Ενδοκρινολογίας, Θεραπευτική Κλινική, Νοσοκομείο Αλεξάνδρα), **Αλέξανδρος Κόκκινος** (Καθηγητής Παθολογίας, Α΄ Προπαιδευτική Παθολογική Κλινική, Νοσοκομείο Λαϊκό), **Παναγιώτης Χαλβατσιώτης** (Αναπληρωτής Καθηγητής Παθολογίας-Σακχαρώδη Διαβήτη, Β΄ Προπαιδευτική Παθολογική Κλινική, Νοσοκομείο Αττικό), **Εριφύλη Χατζηαγγελάκη** (Καθηγήτρια Παθολογίας-Μεταβολικών Νοσημάτων, Β΄ Προπαιδευτική Παθολογική Κλινική, Νοσοκομείο Αττικό), **Θεοδώρα Ψαλτοπούλου** (Καθηγήτρια Θεραπευτικής-Επιδημιολογίας-Προληπτικής Ιατρικής, Θεραπευτική Κλινική, Νοσοκομείο Αλεξάνδρα) και **Νικόλαος Τεντολούρης** (Καθηγητής Παθολογίας, Α΄ Προπαιδευτική Παθολογική Κλινική, Νοσοκομείο Λαϊκό) συνοψίζουν τα σχετικά επιστημονικά δεδομένα.

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-drug-can-delay-onset-type-1-diabetes>

Ο ΣΔ1 εμφανίζεται όταν το ανοσοποιητικό σύστημα επιτίθεται και καταστρέφει τα β κύτταρα του παγκρέατος που παράγουν ινσουλίνη. Τα άτομα με ΣΔ1 έχουν αυξημένη γλυκόζη και απαιτείται καθημερινή ινσουλινοθεραπεία, με ενέσεις ή αντλία, για να επιβιώσουν, ενώ πρέπει να ελέγχουν τακτικά τα επίπεδα σακχάρου στο αίμα τους κατά τη διάρκεια της ημέρας. Αν και μπορεί να εμφανιστεί σε οποιαδήποτε ηλικία, ο ΣΔ1 συνήθως διαγιγνώσκεται σε παιδιά και νεαρούς ενήλικες. Ένα άτομο διατρέχει υψηλότερο κίνδυνο για ΣΔ1 εφόσον έχει γονέα ή αδελφό με ΣΔ1, αν και οι περισσότεροι ασθενείς δεν έχουν σχετικό οικογενειακό ιστορικό.

Το Tzield δρα στο ανοσοποιητικό σύστημα και καθυστερεί την εξέλιξη του ΣΔ1. Συγκεκριμένα, μπορεί να απενεργοποιήσει τα κύτταρα εκείνα του ανοσοποιητικού που επιτίθενται στα β παγκρεατικά κύτταρα που παράγουν ινσουλίνη, ενώ αυξάνει την αναλογία των κυττάρων που βοηθούν στον μετριασμό της ανοσολογικής απόκρισης.

Το Tzielid χορηγείται με ενδοφλέβια έγχυση μία φορά την ημέρα για 14 συνεχόμενες ημέρες.

Η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητα του Tzielid αξιολογήθηκαν σε μια τυχαιοποιημένη, διπλά τυφλή, ελεγχόμενη με εικονικό φάρμακο δοκιμή με 76 ασθενείς υψηλού κινδύνου για ΣΔ1. Στη δοκιμή αυτή, οι ασθενείς τυχαιοποιήθηκαν να λάβουν Tzielid ή εικονικό φάρμακο μία φορά την ημέρα μέσω ενδοφλέβιας έγχυσης για 14 ημέρες. Ο πρωταρχικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο χρόνος από την τυχαιοποίηση ως τη διάγνωση ΣΔ1. Τα αποτελέσματα της δοκιμής έδειξαν ότι σε μια μέση παρακολούθηση 51 μηνών, το 45% από τους 44 ασθενείς που έλαβαν Tzielid διαγνώστηκαν αργότερα με ΣΔ1, σε σύγκριση με το 72% των 32 ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Ο χρόνος από την τυχαιοποίηση ως την εμφάνιση ΣΔ1 ήταν 50 μήνες για τους ασθενείς που έλαβαν Tzielid και 25 μήνες για εκείνους που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Αυτό αντιπροσωπεύει μια στατιστικά και κλινικά σημαντική καθυστέρηση στην ανάπτυξη ΣΔ1.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Tzielid περιλαμβάνουν μειωμένα επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων, εξάνθημα και κεφαλαλγίες. Η έγκριση χρήσης του Tzielid συνοδεύεται από προειδοποιήσεις και προφυλάξεις σχετικά με λοιμώξεις, κίνδυνο αντιδράσεων υπερευαισθησίας, καθώς και την ανάγκη χορήγησης όλων των απαραίτητων εμβολιασμών για την ηλικία πριν από την έναρξη της θεραπείας με Tzielid.