

دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک

به روزرسانی سازمان غذا و داروی آمریکا (FDA) ژن درمانی در منزل
را برای همه بیماران مبتلا به زخم های ناشی از عفونت (DEB) مجاز
می کند

ژل زخم Vyjuvek اکنون برای استفاده نوزادان، بیمار و مراقب تأیید شده است. سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) به روزرسانی اطلاعات تجویز Vyjuvek (beremagene geperpavec)، یک ژل ژن درمانی برای درمان زخم ها در افراد مبتلا به اپیدرمولیز بولوزای دیستروفیک (DEB)، را تأیید کرد که استفاده از آن را در همه بیماران و امکان مصرف خود به خودی در خانه را فراهم می کند. این درمان قبلاً برای بیماران DEB در سن ۶ ماهگی و بالاتر تأیید شده بود. طبق گفته کریستال بایوتک، توسعه دهنده این درمان، این به روزرسانی، تأیید را گسترش می دهد تا نوزادان مبتلا به DEB را از بدو تولد پوشش دهد و تجویز آن را راحت تر کند. Vyjuvek به عنوان یک سوسپانسیون بیولوژیکی موجود است که قبل از استفاده روی پوست به صورت قطره روی زخم (های) درمان شده، با ژل مخلوط می شود. پیش از این، این درمان فقط توسط یک متخصص پزشکی قابل اجرا بود، اما با به روزرسانی جدید، بیماران و مراقبان می توانند خودشان آن را در خانه تجویز کنند. Vyjuvek نباید توسط هیچ فرد بارداری تجویز شود و افراد باردار باید از تماس با زخم های درمان شده خودداری کنند. به روزرسانی به

عنوان «تغییر عظیم و مثبت» مورد ستایش قرار گرفت. DEB ناشی از جهش در ژن COL7A1 است که دستورالعمل‌هایی برای ساخت یک پروتئین ساختاری مهم که به پوست کمک می‌کند تا یکپارچگی خود را حفظ کند، فراهم می‌کند. کمبود این پروتئین منجر به زخم‌های مزمنی می‌شود که به خوبی بهبود نمی‌یابند. Vyjuvek به گونه‌ای طراحی شده است که دو نسخه سالم از ژن COL7A1 را به سلول‌های پوست منتقل کند، تولید پروتئین را بازیابی کند و بهبود زخم را تسریع بخشد. کریشنان گفت: «با فراهم کردن امکان استفاده از VYJUVEK توسط خود بیماران و مراقبان آنها، ادغام VYJUVEK را در برنامه روزانه و سبک زندگی بیماران آسان‌تر کرده‌ایم. به طور کلی، ما معتقدیم که این پیشرفت‌ها، VYJUVEK را به عنوان استاندارد مراقبت برای همه زخم‌های DEB، صرف نظر از اندازه و شدت زخم، تثبیت می‌کند و انطباق با درمان را بیشتر بهبود می‌بخشد.» این شرکت اعلام کرد که این به‌روزرسانی بر اساس داده‌های دنیای واقعی جمع‌آوری شده از زمان عرضه تجاری Vyjuvek در ایالات متحده در سال 2023 و داده‌های کارآزمایی بالینی منتشر شده اخیر است که نتایج بلندمدت این درمان را ردیابی می‌کنند. برت کوپلان، مدیر اجرایی گروه حمایت از بیماران EB در آمریکا، گفت: «به‌روزرسانی‌های برچسب VYJUVEK گام مهم و تأثیرگذار دیگری برای همه کسانی است که با DEB زندگی می‌کنند.» «قادر ساختن مراقبان برای استفاده از VYJUVEK در طول رژیم مراقبتی استاندارد خود، یک تغییر مثبت عظیم است که امکان افزایش راحتی را بدون به خطر انداختن ایمنی فراهم می‌کند و «فقط کیفیت زندگی کسانی را که با این اختلال چالش‌برانگیز زندگی می‌کنند افزایش می‌دهد و این دقیقاً همان چیزی است که جامعه ما به آن نیاز دارد.» Vyjuvek نباید توسط هیچ فرد بارداری تجویز شود

و افراد باردار باید از تماس با زخم‌های درمان شده خودداری کنند. Vyjuvek این به‌روزرسانی همچنین امکان انعطاف‌پذیری بیشتری را در بانداز زخم‌های تحت درمان با Vyjuvek فراهم می‌کند. پیش از این، پانسمان زخم‌های تحت درمان باید به مدت ۲۴ ساعت باقی می‌ماند، اما اکنون می‌توان آنها را همراه با تعویض بانداز برنامه‌ریزی شده بعدی برداشت. کریش کریشنان، رئیس و مدیرعامل کریستال، در یک بیانیه مطبوعاتی شرکت گفت: «ما معتقدیم که این تغییرات، جایگاه رهبری VYJUVEK را به عنوان انعطاف‌پذیرترین، راحت‌ترین و اصلاح‌کننده‌ترین داروی بیماری برای درمان بیماران DEB در ایالات متحده، بیش از پیش تقویت می‌کند.»

<https://api.link.agorapulse.com/redirect/hcguahhqs9>