



Nadir hastalıklar kategorisine giren Fabry'de erken tanı yaşam kalitesini artırıyor

Dünyanın önde gelen biyoteknoloji şirketlerinden Genzyme'ın düzenlediği ve dünyadan 200'ü aşkın hekimin katıldığı Fabry toplantısında, nadir hastalıklar kategorisine giren Fabry hastalığı ve tedavi yöntemleri tartışıldı.

Sanofi Grup bünyesinde faaliyet gösteren Genzyme, 1-2 Haziran 2012 tarihlerinde Fabry hastalığı ve tedavi yöntemleri ile ilgili uzmanların da katılımı ile Berlin'de bir toplantı gerçekleştirdi. Altısı Türkiye'den olmak üzere 200'den fazla hekimin katıldığı Fabry toplantısında hastalıkla ilgili son araştırma bulguları paylaşıldı.

Nadir hastalıklar kategorisine giren Fabry, yaşamı tehdit eden, ilerleyici ve farklı organ sistemlerini etkileyen, seyri kişiden kişiye değişen, kalıtsal lizozomal depo hastalığıdır. Fabry, Alfa Galaktozidaz enzim eksikliği sonucunda kalpte, kan damarlarında, gözde, kan plazmasında, karaciğerde, böbrekte ve periferik sinir sisteminde glikosfingolipid (GL-3) adı verilen yağlı bir maddenin birikmesi sonucunda, bu organlarda geri dönüşü olmayan zararlara yol açabiliyor. Fabry hastalığının en önemli sebepleri böbrek yetmezliği, kardiyovasküler hastalık ve inmedir.

Fabry, erkekleri daha fazla etkiliyor

Erkekleri daha fazla etkileyen Fabry hastalığının belirtileri çocukluk ve ergenlik dönemlerinde gözlemlenebiliyor. Bu belirtiler arasında el ve ayaklarda yanma, karıncalanma ve uyuşma, deride kırmızı lezyonlar, terleyememe (hipohidroz), tekrarlayan ağrı krizleri ve ateş, sıcak ve soğuk intoleransı, kronik karın ağrısı, ishal ve korneada genellikle görmeyi engellemeyen değişiklikler yer alıyor. Yalnızca taşıyıcı olarak Fabry hastalığını yaşayan kadınlar ise enzim miktarına göre asemptomatiktir veya hastalığı hafif olarak atlatırlar.

Yetişkinlerde ise Fabry hastalığı renal işlev bozukluğu, deride kırmızı lezyonlar, erken inme, kardiyak işlev bozukluğu, işitme kaybı ve kulak çınlaması belirtileriyle ortaya çıkıyor. Erken tanı ve tedavi ile organ hasarları engellenirken hastaların yaşam kalitesini artırmak mümkün olabiliyor. Erken dönemde başlayan tedavi, fonksiyon bozukluğu varsa bile böbrekler üzerinde koruyucu etki yapabiliyor.



Nadir hastalıklar hakkında

Avrupa Birliği tarafından 2.000 kişiden 1 kişiyi veya daha azını etkileyen hastalıklar “nadir” olarak kabul ediliyor. Dünya üzerinde halen 6.000-8.000 arasında nadir hastalık bulunuyor. Bugün dünyada 250-350 milyon insanın nadir hastalıklarla mücadele ettiği tahmin ediliyor. Yüzde 80’i genetik nedenlerden kaynaklanan nadir hastalıklar genellikle kronik, ilerleyici, dejeneratif ve hayatı tehdit edici özelliklere sahip. Çoğunlukla hastanın vücut fonksiyon kontrollerini kaybetmesi nedeniyle hastaların yaşam kalitesi bozuluyor. Hasta ve ailesi için sıkıntılı ve acı verici bir süreç neden oluyor. Genetik nedenlerden kaynaklanmayan diğer nadir hastalıklara enfeksiyonlar (bakteri veya virüs), alerjiler ve çevresel etkenler gibi farklı nedenler yol açabiliyor. Nadir hastalıklarda en önemli sorunlardan biri konuyla ilgili farkındalık ve bilgi düzeyinin düşüklüğü ve dolayısıyla erken teşhis edilememesi. Hastalar uygun kalitede sağlık hizmeti bulmakta, tedavi ve bakıma erişmekte güçlük çekiyorlar. Tüm dünyadaki nadir hastaların ancak yaklaşık yüzde 10’unun tedavi olanaklarına ulaşabildiği tahmin ediliyor. Bunun yanında nadir hastalıklar hakkında araştırma sayısının az olması da bu mücadeleyi zorlaştırıyor.

Sanofi hakkında

Sağlık hizmetinin çeşitli alanlarında faaliyet gösteren global bir şirket olan Sanofi, hastaların gereksinimlerine odaklanmış tedavi çözümleri keşfeder, geliştirir ve hizmete sunar. Sanofi, yedi büyüme platformuyla sağlık hizmeti alanında güçlü yönlerle sahiptir. Bu büyüme platformları: diyabet çözümleri, aşılar, yenilikçi ilaçlar, tüketici sağlığı, gelişmekte olan pazarlar, hayvan sağlığı ve Genzyme’in nadir hastalık ürünleridir. Sanofi, Paris (EURONEXT: SAN) ve New York (NYSE: SNY) borsalarında işlem görmektedir.

İleriye Yönelik Bildirimler

Bu basın bülteni, 1995 tarihli U.S. Private Securities Litigation Reform Act (A.B.D. Özel Güvenlik Hakkı İhlalleri Reformu Yasası) isimli yasanın tadil edilmiş şekli uyarınca ileriye yönelik bildirimler içermektedir. İleriye yönelik bildirimler, tarihsel gerçekler dışındaki bildirimlerdir. Bu basın bülteninde yer alan ileriye yönelik bildirimler, kestirimler ve tahminler ile bunların temelinde yatan varsayımları; gelecekteki mali sonuçlar, olaylar, operasyonlar, hizmetler, ürün gelişimi ve ürün potansiyeli açısından planlar, amaçlar, niyetler ve beklentilere dair bildirimleri ve gelecekteki performansa dair bildirimleri kapsamaktadır. İleriye yönelik bildirimler, genellikle “bekler”, “ön görür”, “inanır”, “niyetindedir” (“amaçlar”, “tasarlar”), “planlar” şeklinde eylem ifade eden ve bunlara benzer sözcükler ile tanımlanır. Sanofi yönetimi bu tür ileriye yönelik bildirimlerde yansıtılan beklentilerin kabul edilebilir olduğuna inanmakla birlikte, yatırımcılar ileriye yönelik bilgi ve bildirimlerin, birçoğu öngörülmesi zor olan ve genellikle Sanofi’nin kontrolü dışında kalan ve ileriye yönelik bilgi ve bildirimlerde ifade edilen veya ileriye yönelik bilgi ve bildirimler tarafından ima edilen ya da öne sürülenlerden bariz biçimde farklı fiili sonuç ve gelişmelere sebep olabilecek çeşitli risk ve belirsizliklere bağlı olduğu konusunda ikaz edilirler. Bu riskler ve belirsizlikler, diğerleriyle birlikte, araştırma ve geliştirmede mündemiç olan belirsizlikleri, pazarlama sonrası dahil olmak üzere gelecekteki klinik veriler ve analizleri, FDA ve EMEA gibi sağlık otoritelerine ilaç adayları ile ilgili olarak başvurusu yapılan herhangi bir ilaç, cihaz veya biyolojik uygulamanın onaylanması veya onaylanmamasına dair kararlarını ve bu ilaçların pazara sunumunu veya ticari potansiyelini etkileyebilecek ürün bilgisi veya diğer konularla ilgili kararları, onaylanan ürün adaylarının ticari başarısının garanti edilememesini, gelecekte tedavi alternatiflerinin ruhsat onayı alma ve ticari başarıya ulaşma olasılığını, Grup’un kendi dışındaki büyüme fırsatlarından, döviz kurları ve cari faiz oranlarındaki eğilimlerden yararlanma yeteneğini, gider kısıtlama politikalarının ve bunların sonucu olarak ortaya çıkan ilave değişikliklerin etkisini, 31 Aralık 2011 tarihinde sonlanan yıl için Form 20-’F’de bildirilen yıllık Sanofi raporunda “Risk Faktörleri” ve “İleriye Yönelik Bildirimler ile İlgili Uyarıcı Bildirimler” altında listelenenler de dahil olmak üzere, Sanofi tarafından SEC ve AMF’ye sunulan umumi dosyalarda müzakere edilen ya da tanımlananlar ile birlikte tedavüldeki ortalama hisse senedi sayısını kapsamaktadır. Sanofi, yürürlükteki yasalarca öngörülenler dışında, ileriye yönelik bilgi ve bildirimler ile ilgili güncelleme veya düzeltme yapma konusunda herhangi bir yükümlülük üstlenmez.