

Debrabladet

Nr 2 ♦ 2022



Redaktörens rader

Som vanligt rusar tiden förbi denna tid på året. Varje år efter jul tänker "nästa år skall jag minsann börja i tid med...." Nåja, det har varit ett händelserikt år med ena krisen efter den andra som avlöser varandra. Trots allt elände så har vi ändå varandra.

I år har EB Föreningen donerat 2000 EURO till att hjälpa EB familjer i Ukraina. Debra International samordnade insamlingen och skickade vidare till Debra Polska som i sin tur var där för att stötta EB familjer från Ukraina med transport, boende, förnödenheter och förband.

I September i år ordnade vi ett efterlängtat läger efter några års Covid uppehåll. Det blev några uppskattade dagar i Norrköping med besök i Kolmården, mer om det längre fram i tidningen.

I skrivandes stund snöar det ute, mannen skottar snö, och jag tänker börja med lite julbak så fort jag har skrivit färdigt. När inspirationen tryter brukar jag titta på min stora tall där vi hängt en blandning av godsaker till fåglarna, mest pilfinkar, talgoxar och blåmesar, och ibland nån enstaka rödhake och koltrast. Vi här även en hackspett som kommer varje eftermiddag och kväll och förser sig med nötter. Det är rätt meditativt att stå och titta på de små livet.

Det skulle vara underbart om ni skulle kunna skicka in ett bidrag till nästa Debra bladet. Ni kan skriva om precis vad som helst, allt uppskattas!

GOD JUL och GOTT NYTT ÅR!

ruth.winblad@gmail.com



Ordförande har ordet

Så gick året sådär fort igen!

Visst är det märkligt att året alltid går så där fort, man har en förhoppning om att hinna så mycket och sen blir det inte alltid så. Men förhoppningsvis kan ni se tillbaka på 2022 och tänka att det ändå blev ett bra år! Även om det inte alltid blir som man tänkt sig.

Jag har precis tänt första ljuset i adventsljusstaken och utanför mitt fönster ligger det faktiskt snö, som dock håller på tön bort men just nu väldigt stämningsfullt.

Det är över två månaders sen vi hade de fina läget i Norrköping med en fin höstdag i september på Kolmården som jag tror alla uppskattade, stora som små!

Jag som vart med i föreningen sen 2008 då vår son föddes såg nu ett helt gäng tonåringar som nyss var små som man då passa med hökögon för att de inte skulle göra illa sig, som nu hängde ihop och snacka och var bara var

vanliga tonåringar med telefoner i händerna.

Jag tycker det känns fint att man har ett ställe där man vet att ingen fundera varför man har ett sår, kanske haltar eller varför man har tunna handskar på sig inomhus.

Under nästa vår är min förhoppning att vi kan ses på ett fysiskt årsmöte under våren.

Har ni förslag på stad vi ska ses i? - Mejla gärna ebfjarilar@gmail.com

Håll utkik på facebook och hemsidan så kommer det mera info. Jag hoppas ni kommer!

Det är kul och jag tycker det ger så mycket energi att träffa er alla!

Ta hand om er!


Vänliga hälsningar

Iwona






Spännande nyheter inom forskningen för Dystrofisk EB!




Just nu har två olika kliniska studier inom behandling för dystrofisk EB avslutats med goda resultat och väntar nu på att godkännas av det amerikanska läkemedelsverket-FDA. Har vi tur så har vi två godkända behandlingar för dystrofisk EB under 2023. Fantastiska nyheter för oss alla!

Lite fakta om kliniska studier:



När man ska undersöka effekten eller säkerheten av ett läkemedel eller behandlingsmetod så gör man detta i en s.k. klinisk studie. Studien sker kontrollerat och kan göras på friska eller sjuka personer och delas upp i olika faser. (Fas I, Fas II, Fas III och Fas IV.)





I dessa studier delas deltagarna oftast upp i två grupper, där ingen i respektive grupp vet om de kommer få den faktiska behandlingen, eller om de får placebo. Den grupp som får placebo kallas "kontrollgrupp" och den grupp som får behandlingen kallas "interventionsgrupp". Detta för att man skall kunna


skilja effekten av den specifika behandlingen från effekt av behandling i allmänhet.

De olika faserna:

-Fas I: är den del av studien där man för första gången ger substansen till en människa. Tidigare kan man ha testat det på försöksdjur, men nu ger man en liten mängd av samma substans till frivilliga friska personer. Denna fas inkluderar vanligtvis endast en mindre grupp deltagare och man vill främst ta reda på hur säkert substansen är för en människa, hur det bryts ner i kroppen och vad det har för effekter.



-Fas II: brukar innebära att man prövar substansen på en större grupp som lider av en viss sjukdom för att se hur effektiv substansen är som behandling. Det är även här man gör s.k. dosstudier för att se vilken mängd som lämpar sig att ge till patienter i framtiden. Denna fas kan inkludera en betydligt större mängd deltagare.





-Fas III: i denna del av studien försöker man få deltagargruppen att efterlikna den patientgrupp som läkemedlet är avsedd för i så stor utsträckning som möjligt. (Kön, ålder, vikt etc) Deltagarna kan nu vara upp emot 30.000 personer och delas ofta upp i kontrollgrupp och interventionsgrupp för att utesluta s.k. "placeboeffekt".

Om Fas III uppnår de resultat som studien initialt siktade på, så kan de efter avslutad studie välja att ansöka om godkännande hos motsvarande Läkemedelsverket i respektive land.

-Fas IV: används som en slags "övervakning" av det läkemedel som kommit ut på marknaden. Nya biverkningar kanske rapporteras in som då måste redovisas och produkten kanske justeras något osv.

Så till de fantastiska nyheterna:

Två amerikanska läkemedelsföretag har nyss avslutat sina Fas III-studier med goda resultat och har nu ansökt om godkännande hos det amerikanska Läkemedelsverket -FDA. Hos FDA har bägge ansökningar företräde (s.k. Fast Track) framför många andra ansökningar. Dels för att man prioriterar läkemedel/behandlingar

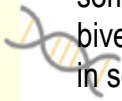
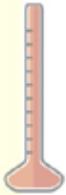
för sällsynta diagnoser, samt att man prioriterar de läkemedel/ behandlingar som anses kunna göra stor skillnad i diagnos/livskvalitet/ överlevnad hos patienter.

-Krystal Biotech-har ansökt om godkännande av sin "B-VEC"-behandling som är en s.k. genterapi.

(Genterapi innebär att man använder DNA som en potentiell terapi att behandla en sjukdom, detta genom att leverera en korrekt/korrigerad kopia av den felande genen direkt in i patientens celler. Den korrekta kopian av genen hjälper sedan cellen att fungera korrekt.)

B-VEC är en genterapi som är utformad att appliceras på huden i form av en gel och är den allra första topiska genterapin inom dermatologi och som främst prövats på patienter med RDEB (Recessiv Dystrofisk Epidermolysis Bullosa)

För B-VEC innebär det att man i detta fall använder sig av ett virus som "vektor" (bärare) och som tränger in i cellen med två korrekta kopior av COL7A1 som ska göra det möjligt för cellen att själv producera COL7-protein.





För B-VEC innebär det att man i detta fall använder sig av ett virus som "vektor" (bärare) och som tränger in i cellen med två korrekta kopior av COL7A1 som ska göra det möjligt för cellen att själv producera COL7-protein.

Denna behandling gör inte bara så att huden producerar eget fungerande COL7-protein, utan den tar också itu med den grundläggande mekanismen i det som orsakar sjukdomen. Huden inte bara läker utan det är en varaktig läkning där den läkta huden också blir mer hållfast.

Länken nedan är ett inslag från American Academy of Dermatology's årliga möte, där forskaren Dr Marinkovich berättar mer. Marinkovich arbetar på EB-kliniken på Stanford University i Kalifornien och är framstående inom behandling av och forskning kring EB.

<https://www.hcplive.com/view/topical-gene-therapy-b-vec-phase-3-efficacy-endpoints-deb-disease-reversal>

Abeona Therapeutics- har också ansökt om godkännande efter att Fas III avslutades med fantastiska

resultat. Deras behandling- "EB-101" är också en genterapi men där den nya korrigerade genen transplanteras direkt på sårytan.

Två biopsier tas från huden där sedan tillväxtcellerna (keratinocyter) behandlas och läggs på ett ark där de får växa till sig. En korrekt/korrigerad COL7 tillförs till cellerna och när cellerna växer och mognar så bildar de också själva fungerande COL7-protein.

Dessa ark med "korrigerade hudceller" transplanteras därefter direkt in i patientens sår. Denna teknik fungerar särskilt väl på patienter som har kroniska och stora sår då två små biopsier kan producera stora ark/kartor med hud att transplantera. Hela processen tar också bara 26 dagar från biopsi till transplantation.

Nedan kan ni läsa lite mer kring EB-101:

https://www.ebresearch.org/uploads/1/0/4/4/104465755/eb-101_one_page.pdf

//Tove Bruce



Lägret i Kolmården

Den 17 september såg det ut som det skulle bli en del regn i stora delar av vårt land. Dock var det dags

för EB-läger, vi åkte till Norrköping denna fredag em för att träffa er alla som anmält sig. När vi kom fram så lyste solen och jag höll tummarna för att den skulle göra de dagen efter också då det var heldag på Kolmården som var planen.

Vi höll till på Scandic Nord och hade ett jättebra konferens rum till förfogande hela helgen precis bredvid

restaurangen. Där man kunde pyssla, rita, drick läsk, äta frukt och mötas för att prata. Vid ca 19 blev det middag, och efter middagen fick man hänga i konferensrummet, eller som vissa gjorde, ett bad i poolen som fanns på hotellet.

Efter hotellfrukost, som man ofta råka äta lite för mycket av var det Kolmårdens djurpark på schemat. Vi tog oss dit i bil och de som åkt tåg till lägret samordnades så alla kom till djurparken utan problem.

På Kolmården fick man gå som man ville och vara kvar som det passade en själv, men jag tyckte det var

perfekt när man mötte upp några från gruppen och gjorde några aktivitet ihop som ex att se det fantastiska fågel showen, man blir så imponerad! Eller åka några karuseller ihop. Jag tyckte dagen var toppen! Regnet hölls sig på avstånd, solen tittade fram ibland, djuren var framme, karusellerna och

godishjulen snurrade. Så där på eftermiddagen var man väldigt nöjd med dagen. Då var det dags för

middag igen på hotellet och ville man hänga kvar på kvällen så fanns konferensrummet öppet för den

som orkade för att se på film och äta snacks. Jag tror verkligen alla var nöjda med denna helg!

Även

om det blir intensivt så åkte iallafall jag därifrån fulltankad med energi och nöjda trötta barn.

// Iwona





Några kommentarer från dom yngre deltagarna

En bra dag! karuseller ,hotellet
var fint, kul, såg många djur,
fågelshowen var häftig. Se på film
med nya kompisar var kul. (Iwonas
barn)

Det var fantastiskt att jag fick
åka innan dom andra barnen ha ha
Åka karuseller
Simma i bassängen med kompisar
Träffa ändra med EB (Kasper)

När ska vi åka dit igen? Snälla
människor!
Allt var roligt!
Tack snälla mormor för att du har
din sjukdom. (Agnetas barnbarn)

Tigrarna var bäst! (Elvin)

När kan vi åka dit igen?
Jag längtar efter Mateo!
(Isac)



Dermatologi Konferens med origami fjärilar

Jag ställde ut för Debra International under kongressen för European Society of Dermatology Research (ESDR) i Amsterdam, som ägde rum slutet av September. Där träffade jag en underbar kvinna, Dr Corinne DECHELETTE, farmaceut och hudforskare som hade en utställning som hon kallade för PEAUrigami®.

Hon förklarade sina verk som en konstnärlig omtolkning av hudfysiopatologi genom origami, en japansk konst. PEAUrigami®-utställningen ägnades åt hudens fysiologi och skapades med foton av frisk hud tagna under ett mikroskop. Man kunde känna

igen alla hudens lager: epidermis, dermis, hypodermis och den dermal-epidermala förbindelsen samt alla hudens celler. Detta konstnärliga förhållningssätt har ett pedagogiskt syfte; det syftar till att förmedla kunskap om hudfysiologi till olika målgrupper, men det är också ett medium för att stärka det primära förebyggandet av vissa hudsjukdomar eller, i samarbete med patientföreningar, bidra till medvetenheten om sällsynta eller uppvisande dermatoser. Under utställningen bjöds deltagarna in att själva vika en "hudcell" efter eget val; melanocyt, fibroblast, keratinocyt, adipocyt eller lymfocyt.



Dermatologi Konferens med origami fjärilar, forts

Corinne förklarade för mig om sin komposition som representerar epidermolysis bullosa.

"För att representera epidermolysis bullosa valde jag origamin "fjäril" för att materialisera bräckligheten i patienternas hud. Det sägs att deras hud är lika ömtålig som fjärilarnas vingar... Så, jag hade foton av hud påverkad av epidermolysis bullosa som jag skaffat i samband med hudläkare. Jag tryckte dem på pappersrutor och vek origami-fjärilar. Denna fjärilflygning går upp till himlen och den symboliserar hopp om framtida behandlingar och friheten

att leva som alla andra. Längst ner på målningen klippte jag ut pappersremсор och lindade dem runt en japansk ätpinne för att efterlikna hudens fjällning efter en skada. Det är en konkret tolkning av sjukdomen för att få folk att förstå patienternas upplevelse".

För mer information: www.lapeauautrement.com/peaurigami eller kontakta Corinne via e-post: peaurigami@gmail.com.

//Ruth Winblad





**Favorit i repris,
Fjärilsprodukter som sista
minuten klappar!**



Disktrasa med logga 40:- styck eller 3 st för 100:-

Kökshanduk 80:- styck eller 3 st för 200:-

Disktrasa + kökshanduk 100:-

Fjärils-tygkasse 50:-

Armband med fjärils-logga 50:-

Fjärils-pin 30:-

Reflex 25:- eller 5 st för 100:-



Maila din beställning till ebfjarilar@gmail.com



God Jul önskar
styrelsen till er alla.

**VILL DU BIDRA MED EN GÅVA TILL
EB-FONDEN?**

Swish 123 546 79 23

eller

Plusgiro 417 60 55-4

Märk din gåva med EB fonden! **TACK!**



Gilla oss på Facebook! Sök på EB
föreningen för att hitta oss.