

### [Akceptuje](#)

W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie Państwo dokonać w każdym czasie zmiany ustawień dotyczących cookies. Więcej szczegółów w naszej [Polityce Prywatności](#)

[Portal](#) [Informacje](#) [Katalog firm](#) [Praca](#) [Szkolenia](#) [Wydarzenia](#) [Porównania międzylaboratoryjne](#)  
[Kontakt](#)



**[Laboratoria](#)**  
**[.net](#)**  
**[Innowacje](#)**  
**[Nauka](#)**  
**[Technologie](#)**



[Logowanie](#) [Rejestracja](#) [pl](#)

Newsletter

zapisz się

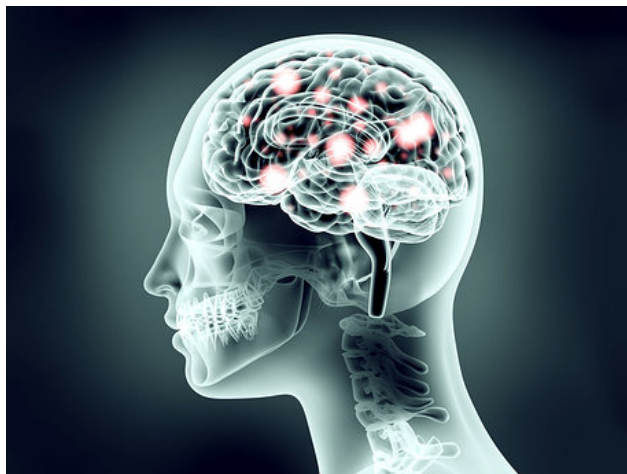
Naukowy styl życia

Nauka i biznes

- [Nowe technologie](#)
- [Felieton](#)
- [Tygodnik "Nature"](#)
- [Edukacja](#)
- [Artykuły](#)
- [Przemysł](#)

[Strona główna](#) > [Informacje](#)

## **Nowe terapie chorób neurodegeneracyjnych**



**Europejskie wysiłki na rzecz wyjaśnienia i leczenia ciężkich postaci neurodegeneracji doprowadziły do odkrycia nowatorskich związków leczniczych.**

Neurodegeneracja z gromadzeniem się żelaza w mózgu (NBIA) to grupa rzadkich dziedzicznych chorób neurodegeneracyjnych, które charakteryzują się wysokim poziomem żelaza w mózgu. Najpowszechniejszym rodzajem NBIA jest neurodegeneracja związana z kinazą pantotenianu (PKAN) wywoływana mutacjami w genie PANK2. U większości pacjentów objawy NBIA występują już we wczesnym dzieciństwie i szybko się pogłębiają.

Obecnie nie istnieje terapia o potwierdzonej skuteczności w hamowaniu PKAN lub jakiegokolwiek innej postaci NBIA. Biochemiczne celowanie w PANK2 wydaje się wartościową metodą zapobiegania szkodliwemu gromadzeniu się w mózgu toksycznej N-pantotenoilocysteiny oraz panteteiny.

Naukowcy z finansowanego przez UE projektu [TIRCON](#) (Treat iron-related childhood-onset neurodegeneration) chcieli sprostać pilnej potrzebie stworzenia terapii NBIA. W tym celu nawiązali współpracę światowi eksperci z tej dziedziny i zgodnie z planem projektu TIRCON przeprowadzili przedkliniczne prace nad obiecującymi lekami.

Uczestnicy projektu TIRCON zmierzali się z wyzwaniami, związanymi z rzadkością tej choroby, brakiem rejestrów pacjentów i fragmentacją badań na całym świecie. W tym celu ustanowili międzynarodowy, zharmonizowany rejestr 281 pacjentów cierpiących na NBIA. Niniejszej bazie danych towarzyszy międzynarodowy bank biomateriału od 216 NBIA pacjentów i 372 osób z grupy kontrolnej. Zebrany materiał wykorzystano do analiz genomicznych, proteomicznych, transkryptomicznych i metabolomicznych w kierunku nowych biomarkerów chorobowych.

Przeprowadzili randomizowane badanie kliniczne z udziałem 89 pacjentów, z grupą kontrolną przyjmującą placebo, aby określić bezpieczeństwo i skuteczność chelatującego żelazo leku deferypronu w PKAN. Uczestnictwo każdego z pacjentów w badaniu trwało 18 miesięcy, podczas których naukowcy ocenili symptomatyczny oraz neuroochronny wpływ leku.

Dokonano syntezy dodatkowych związków i przebadano pod kątem przeciwdziałania PKAN w kulturach komórkowych oraz na muszkach i myszach. Jeden z tych związków (CAB1803) opatentowano i promowano jego stosowanie jako leku sierocego.

Uczestnicy inicjatywy TIRCON, oprócz zgłębienia fundamentalnej wiedzy o patogenezie choroby, nadali strukturę badaniom nad NBIA i współpracy pracowników służby zdrowia na poziomie międzynarodowym. Co istotne, zidentyfikowane związki mogą stanowić nowatorskie terapie tej postępującej, powodującej niepełnosprawność i zagrażającej życiu choroby.

Źródło: [www.cordis.europa.eu](http://www.cordis.europa.eu)  
<http://laboratoria.net/aktualnosci/26089.html>



07-11-2024

## **PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego**

PCI Days – kluczowe wydarzenie dla przemysłu farmaceutycznego.



07-11-2024

## **Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy**

Trzeba też jednak pamiętać o prostym i tanim badaniu.



07-11-2024

## **Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością**

Po 40-tce zaczynamy spać coraz krócej i coraz płycej.



07-11-2024

## [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#)

Efekty prac mogą być przydatne.



07-11-2024

## [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#)

Warto rozmawiać z dziećmi na trudne tematy.



07-11-2024

## [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#)

Wykazało badanie z udziałem prawie 90 tys. osób.



07-11-2024

## Test stania na jednej nodze dobrze określa stan zdrowia

Oraz ryzyko zgonu u osób 50+.



07-11-2024

## Wirtualne zajęcia jogi skutecznym remedium na przewlekły ból pleców

Poinformowano w czasopiśmie „JAMA Network Open”.

**Informacje dnia:** [PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego](#) [Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy](#) [Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością](#) [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#) [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#) [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#) [PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego](#) [Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy](#) [Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością](#) [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#) [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#) [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#) [PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego](#) [Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy](#) [Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością](#) [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#) [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#) [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#)

**Partnerzy**