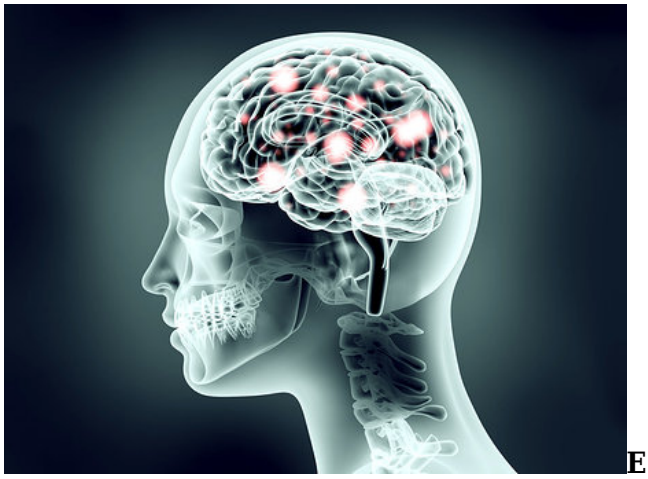
Akceptuję
W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie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

Naukowy styl życia

Nauka i biznes

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 jakiejkolwiek 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 zmierzyli 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
https://laboratoria.net/aktualnosci/26089.html

12-03-2026

Werfen skraca czas procesu fill-finish o około 40%

Dzięki dzięki urządzeniom Flexicon.

16-03-2026

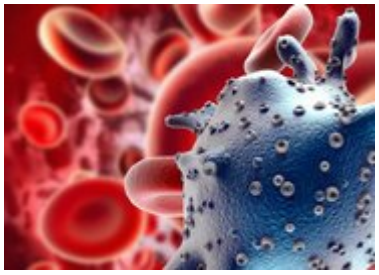
Ekspert: szkodliwość kawy jest mitem

Wyniki najnowszych badań wykazuje liczne korzyści zdrowotne.

16-03-2026

Otyłość to przewlekła choroba cywilizacyjna dotykająca miliony...

Coraz częściej diagnozowana jest u dziec.



16-03-2026

COVID-19 nadal obciąża system ochrony zdrowia

Sześć lat od wybuchu pandemii COVID-19 nadal obciąża system ochrony zdrowia.

09-03-2026

Badacze przeanalizowali diagnozy schizofrenii u dzieci i młodzieży...

Liczba nowych diagnoz w Polsce pozostaje stabilna,.

09-03-2026

Analiza głosu z użyciem AI może wspierać diagnostykę chorób serca

Sztuczna inteligencja może znaleźć zastosowanie w diagnostyce.

09-03-2026

Sześć milionów Polaków choruje na przewlekłe choroby płuc

Powiedziała PAP dr n. med. Małgorzata Czajkowska-Malinowska.

09-03-2026

Polskie nośniki leków wciąż testowane na orbicie

Finał eksperymentu za dwa-trzy lata.

Informacje dnia: Werfen skraca czas procesu fill-finish o około 40% Ekspert: szkodliwość kawy jest mitem Otyłość to przewlekła choroba cywilizacyjna dotykająca miliony Polaków, COVID-19 nadal obciąża system ochrony zdrowia Badacze przeanalizowali diagnozy schizofrenii u dzieci i młodzieży w Polsce Analiza głosu z użyciem AI może wspierać diagnostykę chorób serca Werfen skraca czas procesu fill-finish o około 40% Ekspert: szkodliwość kawy jest mitem Otyłość to przewlekła choroba cywilizacyjna dotykająca miliony Polaków, COVID-19 nadal obciąża system ochrony zdrowia Badacze przeanalizowali diagnozy schizofrenii u dzieci i młodzieży w Polsce Analiza głosu z użyciem AI może wspierać diagnostykę chorób serca Werfen skraca czas procesu fill-finish o około 40% Ekspert: szkodliwość kawy jest mitem Otyłość to przewlekła choroba cywilizacyjna dotykająca miliony Polaków, COVID-19 nadal obciąża system ochrony zdrowia Badacze przeanalizowali diagnozy schizofrenii u dzieci i młodzieży w Polsce Analiza głosu z użyciem AI może wspierać diagnostykę chorób serca

Partnerzy