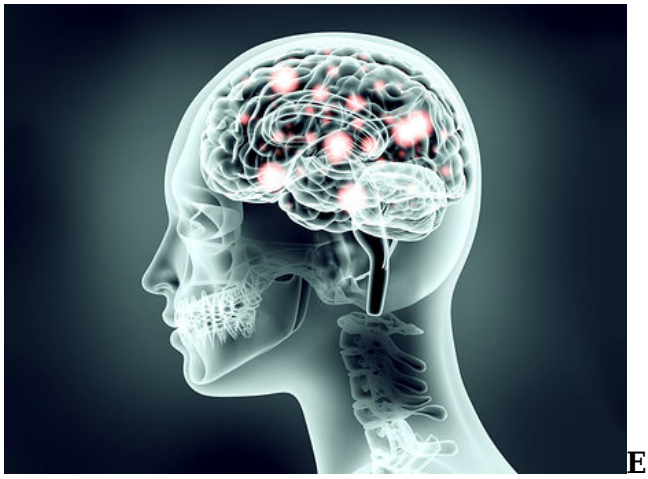
Akceptuję
W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie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

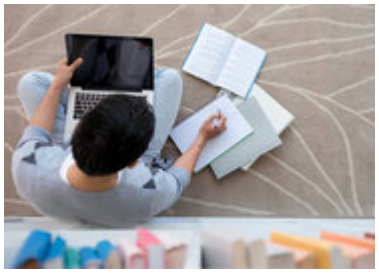
Uczestnicy inicjatywy TIRCON, oprócz zgłębienia fundamentalnej wiedzy o patogenezie choroby, nadali strukturę badaniom nad NBIA i współpracy pracowników służby zdrowia na poziomie międzynarodowym. Co istotne, zidentyfikowane związki mogą stanowić nowatorskie terapie tej postępującej, powodującej niepełnosprawność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

Źródło: www.cordis.europa.eu
https://laboratoria.net/aktualnosci/26089.html

14-08-2025

Ile kraje OECD wydają na służbę zdrowia?

Systemy opieki zdrowotnej na świecie muszą mierzyć się z wyzwaniami finansowymi i organizacyjnymi.



08-08-2025

Fundacjq Orlen dla polskich studentów za granicą

Program Alumnów będzie wspierał projekt stypendialny.

08-08-2025

Bocian Biały „Zwierzęciem Roku 2025”

W plebiscycie ministerstwa klimatu.

08-08-2025

Ubóstwo nie musi nasilać problemów ze zdrowiem psychicznym wśród...

Wynika z nowego międzynarodowego badania.

08-08-2025

Skala wyzwań związanych z imigracją w Polsce jest wyolbrzymiona

Migracja może oznaczać zarówno szanse, jak i wyzwania.

08-08-2025

Najintensywniejszy letni rój spadających gwiazd już aktywny

Na niebPowoli zbliża się ich maksimum, przypadające na 12 sierpnia.

08-08-2025

Zorganizowane oszustwa naukowe rosną w alarmującym tempie

Tzw. fabryki publikacji, pośrednicy i zmanipulowane czasopisma.

08-08-2025

Cywilizacja na rauszu

Alkohol sprzyjał budowaniu złożonych społeczeństw

Informacje dnia: Ile kraje OECD wydają na służbę zdrowia? Fundacją Orlen dla polskich studentów za granicą Bocian Biały „Zwierzęciem Roku 2025” Ubóstwo nie musi nasilać problemów ze zdrowiem psychicznym wśród dzieci Skala wyzwań związanych z imigracją w Polsce jest wyolbrzymiona Najintensywniejszy letni rój spadających gwiazd już aktywny Ile kraje OECD wydają na służbę zdrowia? Fundacją Orlen dla polskich studentów za granicą Bocian Biały „Zwierzęciem Roku 2025” Ubóstwo nie musi nasilać problemów ze zdrowiem psychicznym wśród dzieci Skala wyzwań związanych z imigracją w Polsce jest wyolbrzymiona Najintensywniejszy letni rój spadających gwiazd już aktywny Ile kraje OECD wydają na służbę zdrowia? Fundacją Orlen dla polskich studentów za granicą Bocian Biały „Zwierzęciem Roku 2025” Ubóstwo nie musi nasilać problemów ze zdrowiem psychicznym wśród dzieci Skala wyzwań związanych z imigracją w Polsce jest wyolbrzymiona Najintensywniejszy letni rój spadających gwiazd już aktywny

Partnerzy