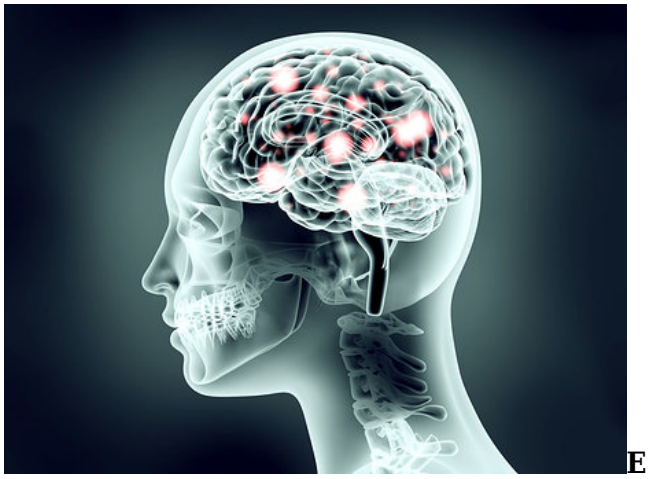
Akceptuję
W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie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

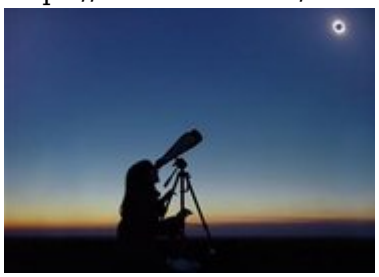
Uczestnicy projektu TIRCON zmierzyli się z wyzwaniami, związanymi z rzadkością tej choroby, brakiem rejestrów pacjentów i fragmentacją badań na całym świecie. W tym celu ustanowili międzynarodowy, zharmonizowany rejestr 281 pacjentów cierpiących na NBIA. Niniejszej bazie danych towarzyszy międzynarodowy 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



12-12-2025

Drzwi do realizacji technologicznych marzeń w Polsce

Chciałby je otworzyć Uznański-Wiśniewski

12-12-2025

Szczepionka przeciw półpaścowi znacząco obniża ryzyko demencji

Wynika z badań przeprowadzonych w Walii.

12-12-2025

Korzystanie z social mediów zakłóca koncentrację uwagi u dzieci

Publikuje czasopismo „Pediatrics Open Science”.

12-12-2025

Mieszanka trzech składników odżywczych łagodzi objawy autyzmu u myszy

Poinformowało czasopismo „PLOS Biology”.

12-12-2025

Kosmiczna latarnia w odległej małej galaktyce

Znamy dziś jego dokładny adres i możemy użyć go jako sondy.

12-12-2025

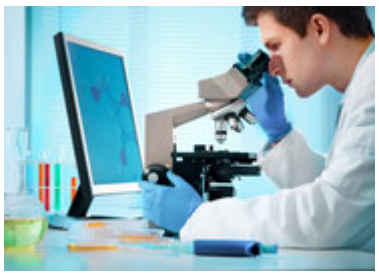
standardy kształcenia medyków mają uwzględnić medycynę pola walki

W w środę weszło w życie zarządzenie minister zdrowia.

12-12-2025

7 stycznia prezydent Nawrocki wręczy nominacje profesorskie

Poinformował rzecznik prezydenta Rafał Leśkiewicz



12-12-2025

Minister nauki do przedstawicieli akademii o ustawie PAN

Nic o was bez was.

Informacje dnia: Drzwi do realizacji technologicznych marzeń w Polsce Szczepionka przeciw półpaścowi znacząco obniża ryzyko demencji Korzystanie z social mediów zakłóca koncentrację uwagi u dzieci Mieszanka trzech składników odżywczych łagodzi objawy autyzmu u myszy Kosmiczna latarnia w odległej małej galaktyce standardy kształcenia medyków mają uwzględnić medycynę pola walki Drzwi do realizacji technologicznych marzeń w Polsce Szczepionka przeciw półpaścowi znacząco obniża ryzyko demencji Korzystanie z social mediów zakłóca koncentrację uwagi u dzieci Mieszanka trzech składników odżywczych łagodzi objawy autyzmu u myszy Kosmiczna latarnia w odległej małej galaktyce standardy kształcenia medyków mają uwzględnić medycynę pola walki Drzwi do realizacji technologicznych marzeń w Polsce Szczepionka przeciw półpaścowi znacząco obniża ryzyko demencji Korzystanie z social mediów zakłóca koncentrację uwagi u dzieci Mieszanka trzech składników odżywczych łagodzi objawy autyzmu u myszy Kosmiczna latarnia w odległej małej galaktyce standardy kształcenia medyków mają uwzględnić medycynę pola walki

Partnerzy