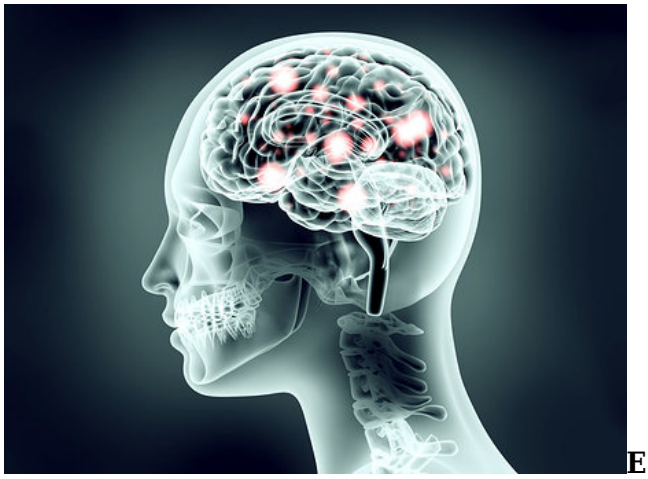
Akceptuję
W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie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

02-02-2026

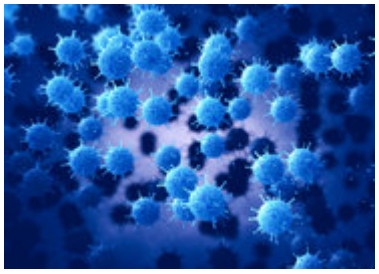
Nowa metoda stereo EEG daje szansę pacjentom z lekooporną padaczką

Technologia ta może znacząco zwiększyć skuteczność leczenia.

02-02-2026

Wrocław/ Muzeum Medycyny Sądowej

Jedyna taka placówka w Polsce.



02-02-2026

Wirus Nipah nie stanowi obecnie dla nas zagrożenia epidemicznego

Ocenił biolog medyczny dr hab. Piotr Rzymski.

02-02-2026

Tłuszcz beżowy wpływa na ciśnienie krwi

iNformuje „Science”.

02-02-2026

Obiecująca metoda leczenia raka trzustki

Na razie u myszy.

02-02-2026

Przeszczepy kałowe mogą zwiększyć skuteczność leczenia raka nerki

Informuje pismo „Nature Medicine”.

02-02-2026

Dyrektor IF PAN o minimalnej pensji dla asystenta

W Polsce to standardowa sytuacja.

02-02-2026

Do dorosłości dochodzi pokolenie, dla którego dziecko nie jest...

Polska w 2025 r. straciła 157 tys. mieszkańców .

Informacje dnia: Nowa metoda stereo EEG daje szansę pacjentom z lekooporną padaczką Wrocław/ Muzeum Medycyny Sądowej Wirus Nipah nie stanowi obecnie dla nas zagrożenia epidemicznego Tłuszcz beżowy wpływa na ciśnienie krwi Obiecująca metoda leczenia raka trzustki Przeszczepy kałowe mogą zwiększyć skuteczność leczenia raka nerki Nowa metoda stereo EEG daje szansę pacjentom z lekooporną padaczką Wrocław/ Muzeum Medycyny Sądowej Wirus Nipah nie stanowi obecnie dla nas zagrożenia epidemicznego Tłuszcz beżowy wpływa na ciśnienie krwi Obiecująca metoda leczenia raka trzustki Przeszczepy kałowe mogą zwiększyć skuteczność leczenia raka nerki Nowa metoda stereo EEG daje szansę pacjentom z lekooporną padaczką Wrocław/ Muzeum Medycyny Sądowej Wirus Nipah nie stanowi obecnie dla nas zagrożenia epidemicznego Tłuszcz beżowy wpływa na ciśnienie krwi Obiecująca metoda leczenia raka trzustki Przeszczepy kałowe mogą zwiększyć skuteczność leczenia raka nerki

Partnerzy