

### [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

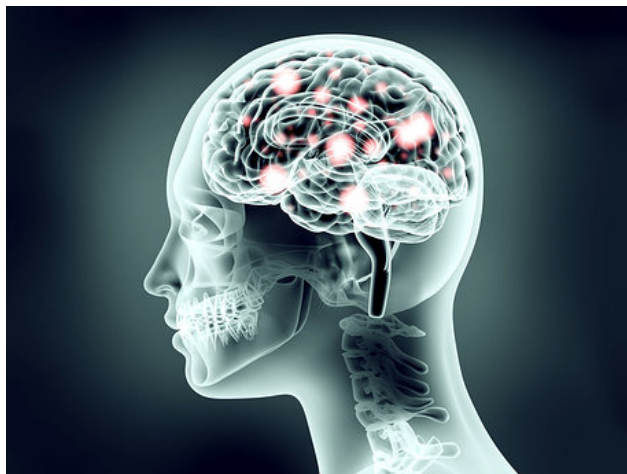
Naukowy styl życia

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) wywołwana 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>



23-12-2024

## Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia

Najserdeczniejsze życzenia zdrowych, radosnych i pogodnych Świąt Bożego Narodzenia.



23-12-2024

## Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025!

Odbędą się one w dniach 11-13 czerwca w Expo XXI w Warszawie.



23-12-2024

## Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn

Kobiety często nie czują typowych bólów co skutkuje gorszymi wynikami.



23-12-2024

## Świąteczna apteczka

Szczypta umiaru i coś na zgage



23-12-2024

## Radioaktywny pluton się nie ukryje

Naukowcy znajdują go nawet na lodowcach



23-12-2024

## Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14

Wyłoniono autorów najlepszych prac licencjackich i inżynierskich.



23-12-2024

## Polacy są umiarkowanie prospołeczni

Polacy chcą wspierać materialnie.



23-12-2024

## Związek między traumą z dzieciństwa a zespołem jelita drażliwego

Pokazały badania polskich naukowców.

**Informacje dnia:** [Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025! Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn Świąteczna apteczka Radioaktywny pluton się nie ukryje Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14 Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025! Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn Świąteczna apteczka Radioaktywny pluton się nie ukryje Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14 Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025! Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn Świąteczna apteczka Radioaktywny pluton się nie ukryje Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14](#)

### **Partnerzy**