

[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](#)

Szansa na skuteczny lek dla chorych na glikogenozę 1b

Pojawiła się szansa, że z niedoborem odporności, z którą zmagają się chorzy na rzadką wrodzoną chorobę metaboliczną - glikogenozę 1b (GSD 1b) - poradzimy sobie za sprawą

leku pierwotnie przeznaczonego do leczenia cukrzycy i niewydolności serca - przekazało biuro prasowe Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, zaznaczając, że rusza właśnie badanie kliniczne.

Naukowcy Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego i z Instytutu "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka" rozpoczynają badanie kliniczne mające poprawić leczenie niedoboru odporności - neuropenii, która jest - obok spadku stężenia glukozy we krwi - najgroźniejszym problemem, z którym zmagają się chorzy na glikogenezę 1b (GSD 1b). To rzadka wrodzona choroba metaboliczna rozpoznawana zwykle w pierwszych miesiącach życia. Zależnie od rodzaju mutacji rozróżnia się kilkanaście podtypów glikogenozy - jednym z nich jest glikogenoza 1b (GSD 1b).

Jak przekazano w komunikacie prasowym, jest to największe badanie na świecie. Pozostałe będą prowadzone we Francji i w Hongkongu.

"Nasz projekt jest największym tego typu badaniem na świecie. Rekrutujemy aż 20 pacjentów, przy czym jako jedyni do badania włączamy nie tylko dzieci, ale także pacjentów dorosłych, których w naszym ośrodku jest obecnie dwóch" - podał prof. dr hab. n. med. Zbigniew Gaciong z Katedry i Kliniki Chorób Wewnętrznych, Nadciśnienia Tętniczego i Angiologii Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego WUM.

Profesor wyjaśnił, że w wieku dorosłym pacjenci rozwijają zmiany w różnych narządach, co wymaga zaangażowania doświadczonych klinicystów o różnych specjalnościach medycznych.

"Tylko nieliczne ośrodki w Polsce podejmują się opieki nad dorosłymi pacjentami z GSD 1b. W naszej klinice zajmuje się nimi kierowany przeze mnie zespół, w składzie: dr n. med. Piotr Sobieraj i dr Joanna Bidiuk" - dodał prof. Gaciong.

Neutropenia to obniżenie liczby neutrofilii we krwi. Neutrofile odpowiadają za zapewnienie odpowiedniego poziomu odporności. Niedobór odporności może stanowić poważne zagrożenie życia chorego.

"U pacjentów z GSD 1b dochodzi do częstych infekcji, głównie oddechowych oraz skórnych. Nierzadko, ze względu na zagrożenie życia, taka infekcja wymaga hospitalizacji" - wytłumaczył dr n. med. Piotr Sobieraj z Katedry i Kliniki Chorób Wewnętrznych, Nadciśnienia Tętniczego i Angiologii Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego WUM.

Specjaliści zwrócili uwagę na to, że do tej pory nie był wielu możliwości leczenia neuropenii u pacjentów z tym schorzeniem.

"Specjaliści nie mieli wielu możliwości leczenia neutropenii u pacjentów z GSD 1b. Stosowane leczenie było uciążliwe i niebezpieczne dla pacjenta ze względu na ryzyko nowotworzenia. Terapia wymagała wykonywania codziennie zastrzyków podskórnych. Codzienne i wykonywane latami nakłucia są nieprzyjemne" - zauważył Sobieraj.

Przed obniżeniem stężenia glukozy we krwi można zabezpieczyć chorego stosując specjalną dietę opartą na skrobi kukurydzianej.

W ubiegłym roku badania otworzyły nowe perspektywy dla pacjentów z GSD 1b.

"Wykazano, że obniżenie liczby neutrofilii, a tym samym pogorszenie odporności, wynika z nagromadzenia we krwi toksycznego związku o nazwie 1,5-anhydroglucytiol. Nadmiar 1,5-anhydroglucytiolu u chorych z glikogenezą 1b wywołuje groźny w skutkach niedobór odporności.

Naukowcy rozpoczęli zatem poszukiwania takiego rozwiązania, którego konsekwencją byłaby eliminacja tego toksycznego związku z organizmu" - napisano w komunikacie.

W zeszłym roku pojawiła się szansa na terapię osób chorych na GSD 1b lekiem zarejestrowanym dla pacjentów z cukrzycą i niewydolnością serca - empagliflozyną.

"Wiosną zeszłego roku w badaniu na gryzoniach udowodniono, że po podaniu empagliflozyny - leku zarejestrowanego dla pacjentów z cukrzycą i niewydolnością serca - następuje wydalenie przez nerki związku 1,5-anhydroglucytiol. Zmniejszenie jego stężenia pozwoliło na poprawę funkcji neutrofilii" - wyjaśnił dr Sobieraj.

Leczenie powoduje też ustąpienie innych powikłań choroby, takich jak zapalenie jelit czy stawów.

"Pojawiła się zatem nadzieja, że z niedoborem odporności poradzimy sobie za sprawą leku pierwotnie przeznaczonego do leczenia cukrzycy i niewydolności serca - empagliflozyną. Wymaga to jednak przeprowadzenia badań klinicznych oceniających bezpieczeństwo i skuteczność takiego leczenia. I takie właśnie badanie w dwóch ośrodkach w Polsce się odbędzie. W przypadku pozytywnych obserwacji znacząco poprawi się jakość życia pacjentów, jako że to właśnie obniżenie odporności jest odpowiedzialne za znaczącą liczbę powikłań i problemów w przebiegu GSD 1b" - przyznał dr n. med. Dariusz Rokicki z Kliniki Pediatrii, Żywienia i Chorób Metabolicznych Instytutu "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka".

Podano także, że jeżeli stosowanie tego leku u chorych na glikogenezę 1b przyniesie zamierzony przez naukowców skutek, to poprawi się funkcja układu odpornościowego, a chorzy nie będą musieli stosować wcześniejszego, uciążliwego leczenia.

"Mamy ponad roczne doświadczenie w leczeniu empagliflozyną naszych pacjentów. Już teraz mogę powiedzieć, że obserwujemy zdecydowane korzyści takie, jak zmniejszone nasilenie objawów, możliwość odstawienia leków i ogólna poprawa jakości życia" - mówi dr n. med. Piotr Sobieraj.

Projekt "Ocena skuteczności i bezpieczeństwa empagliflozyny w leczeniu neutropenii u pacjentów z glikogenezą 1b" (akronim: EMPAtia) otrzymał dofinansowanie Agencji Badań Medycznych. Kierownikiem projektu ze strony WUM jest dr n. med. Piotr Sobieraj, liderem i głównym badaczem - dr n. med. Dariusz Rokicki (IPCZD). Spośród trzech zaplanowanych badań z empagliflozyną u pacjentów z GSD 1b. Badanie warszawskich naukowców zostało zarejestrowane jako drugie na świecie.

Źródło: pap.pl

<http://laboratoria.net/aktualnosci/31117.html>



09-09-2024

[Jak poradzić sobie z końcem wakacji?](#)

Dobrym sposobem jest opracowanie planu na „po urlopie”.



09-09-2024

Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne

Wytyczne dotyczące mpox są adekwatne do obecnej sytuacji.



09-09-2024

Przydatność organów do przeszczepu

Syntetyczna krew może istotnie wpłynąć na transplantologię.



09-09-2024

Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych

Język ewoluuje w kontekście społecznym, a jego odmiany zawsze konkurują ze sobą.



09-09-2024

Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu

Wykazują naukowcy w najnowszych badaniach.



09-09-2024

Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet

Z 30-letnim wyprzedzeniem zwykłym testem krwi można je wykryć.



09-09-2024

Galaktyki są dużo większe, niż sądzono

Galaktyka Andromedy już od dawna oddziałuje na Drogę Mleczną.



09-09-2024

System inteligentnego zarządzania pojazdami nagrodzony przez...

Nagrodzony przez Siemens i PW.

Informacje dnia: [Jak poradzić sobie z końcem wakacji? Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne](#) [Przydatność organów do przeszczepu](#) [Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych](#) [Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu](#) [Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet](#) [Jak poradzić sobie z końcem wakacji? Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne](#) [Przydatność organów do przeszczepu](#) [Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych](#) [Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu](#) [Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet](#) [Jak poradzić sobie z końcem wakacji? Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne](#) [Przydatność organów do przeszczepu](#) [Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych](#) [Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu](#) [Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet](#)

Partnerzy