

### [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](#)

[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](#)

## Polacy opracowali eksperymentalną terapię celowaną autyzmu

Eksperymentalną terapię celowaną autyzmu, będącą przełomem w rozumieniu możliwości leczenia objawów tego złożonego zaburzenia, opracowali naukowcy z Instytutu Nenckiego

## **PAN. Jak dowodzą, terapia dostosowana do konkretnych objawów autyzmu jest możliwa i efektywna.**

Badania związane z autyzmem zrealizowała dr Alicja Puścian oraz jej współpracownicy z zespołu prowadzonego przez dr hab. Ewelinę Knapską, profesor Instytutu Nenckiego i wiceszefową Centrum Badań Plastyczności Neuronalnej i Chorób Mózgu BRAINCITY. W badaniach na zwierzętach naukowcy ci wykazali, że selektywne dostarczanie pewnego białka do jądra środkowego ciała migdałowatego (struktury mózgu zaangażowanej w zdolność do uczenia się) łagodzi poważne deficyty poznawcze u myszy z wadą genetyczną będącą najczęstszą jednogenową przyczyną autyzmu. Jednocześnie normalizuje fizjologię ich mózgow oraz ultrastrukturę neuronów i synaps, czyli połączeń między komórkami nerwowymi.

Odkrycia Polaków zostały opisane na łamach „Molecular Psychiatry”.

Terapia celowana najczęściej kolarzy się z onkologią; „celujemy” leczeniem w konkretny mechanizm molekularny w komórkach nowotworu. W przypadku autyzmu jest to mniej oczywiste. W co można celować?

Jak wyjaśniają autorzy publikacji, określone grupy komórek nerwowych (neuronów) w mózgu kontrolują nasze zachowanie, przy czym różne ich grupy odpowiadają za różne zachowania. Tak powiązane ze sobą funkcjonalnie grupy komórek nazywamy obwodami neuronalnymi. Zatem pierwszym celem w tego typu badaniach jest identyfikacja obwodów neuronalnych zaangażowanych w konkretne objawy. W przypadku tego badania były to zachowania charakterystyczne dla autyzmu.

W zaburzeniach ze spektrum autyzmu nie można co prawda mówić o jednym specyficznym zachowaniu, które odróżnia autystów od reszty społeczeństwa, bo najczęściej jest to wiele problemów utrudniających codzienne funkcjonowanie. Istnieją jednak dwie podstawowe grupy objawów, które charakteryzują autyzm: są to zaburzenia w sferze funkcjonowania poznawczego (problemy z uczeniem się nowych rzeczy, powtarzalne, a jednocześnie nieadaptacyjne wzorce zachowań) oraz deficyty w sferze społecznej.

„Ponieważ problemy z uczeniem się i problemy z funkcjonowaniem społecznym nie zawsze występują z równie dużym nasileniem, możemy przypuszczać, że kontrolują je inne grupy neuronów - mówi PAP prof. Ewelina Knapska. - W naszej pracy zidentyfikowaliśmy obwód neuronalny w ciele migdałowatym, strukturze mózgu kontrolującej nasze emocje i motywację do działania, który odpowiada za zdolność do uczenia się lokalizacji smacznego pokarmu”.

Naukowcy wykorzystali myszy, które podobnie jak ludzie lubią cukier. Co ważne, zastosowali w badaniach tzw. mysi model autyzmu, czyli zwierzęta zmodyfikowane w taki sposób, aby odwzorowywać problem genetyczny będący najczęstszą jednogenową przyczyną autyzmu - zespół łamliwego chromosomu X.

„Choroba ta uwarunkowana jest mutacją w genie Fmr1 kodującym białko FMRP. Gen ten znajduje się na chromosomie X, stąd nazwa zespołu. Jest to mutacja prowadząca do szeregu zaburzeń u pacjentów nią dotkniętych, jednak - co ważne - aż 60 proc. z nich ma autyzm” - podkreśla w rozmowie z PAP dr Puścian.

Zwierzęta poddawano dwóm rodzajom testów. W obu przypadkach znajdowały się w dużych, zautomatyzowanych klatkach, gdzie tworzyły swego rodzaju społeczności, nie będąc narażonymi na obecność człowieka. Na potrzeby pierwszego testu w czterech rogach klatki wydzielono specjalne strefy, w których jednocześnie mieściła się tylko jedna mysz. To, która mysz aktualnie przebywała

w narożniku, eksperymentatorzy rozpoznawali dzięki czipom, jakie wcześniej umieszczono pod skórą wszystkich gryzoni. Po wejściu do narożnika gryzoń mógł wybrać pomiędzy dwoma butelkami: zawierającą czystą wodę lub zawierającą roztwór cukru. „Zwykle” myszy szybko uczyły się, gdzie znajduje się ta druga, znacznie dla nich atrakcyjniejsza. Myszy, którym brakowało białka FMRP, uczyły się tego znacznie wolniej.

W drugim eksperymencie badano zachowania społeczne zwierząt. Myszy wpuszczono do systemu testowego Eco-HAB, złożonego z czterech klatek połączonych korytarzami, którymi zwierzęta mogły się swobodnie przemieszczać. Badacze oceniali, ile czasu poszczególne osobniki (także identyfikowane za pomocą podskórnych chipów) spędzały z towarzyszykami oraz jak bardzo interesowały się nowym bodźcem społecznym, czyli trocinami, w których mieszkały inne myszy i które przesiąknięte były ich zapachem. „Zwykle” myszy spędzały dużo czasu z pozostałymi osobnikami i bardzo interesowały się nowymi zapachami; gryzonie z mutacją wykazywały dużo mniejszą ciekawość względem towarzyszy i ich zapachów.

Podsumowując: mysi model autyzmu - zwierzęta w wadą w genie *Fmr1* - zgodnie z przewidywaniami naukowców, bardzo słabo radziły sobie z interakcjami społecznymi, a także z uczeniem się motywowanym nagrodą - słodką wodą.

„Pojawiło się pytanie, jak im pomóc - opowiada prof. Knapska. - I tutaj dochodzimy do kolejnego aspektu 'celowania', to znaczy próby zniwelowania dysfunkcji konkretnego mechanizmu molekularnego, podobnie jak w przypadku leczenia nowotworów. W toku wieloletnich badań zidentyfikowaliśmy białko, metaloproteinazę macierzy zewnątrzkomórkowej 9 (w skrócie MMP9), którego aktywność na synapsach w jednej z części ciała migdałowatego umożliwia myszom nauczenie się, jak znajdować słodką wodę”.

Badaczka podkreśla, że w tym momencie zespół dokonał ciekawej obserwacji: aktywność białka MMP9 w tym konkretnym obwodzie neuronalnym nie miała wpływu na zachowania społeczne zwierząt. "Z innych badań wiedzieliśmy, że ta struktura mózgu jest zaangażowana w kontrolę interakcji społecznych, ale że nie odbywa się to poprzez neurony związane z MMP9 - wyjaśnia. - Wiedzieliśmy też, że u myszy (i ludzi) z mutacją, która wywołuje zespół łamliwego chromosomu X, białka MMP9 jest za dużo, ponieważ białka FMRP, które w normalnych warunkach hamuje wydzielanie MMP9 na synapsach, tutaj brakuje”.

Brak odpowiedniej ilości FMRP przekłada się więc na zbyt dużą aktywność MMP9 w jądrze środkowym ciała migdałowatego, a to z kolei zaburza proces prawidłowego uczenia się.

„Postanowiliśmy wykorzystać tę wiedzę, żeby spróbować 'naprawić' zaburzone uczenie się u myszy z łamliwym chromosomem X. Do wcześniej zidentyfikowanej części ciała migdałowatego wprowadziliśmy nanocząstki, które stopniowo uwalniają inhibitor białka MMP9, hamujący jego nadmierną aktywność. Celowaliśmy więc potrójnie: w określony objaw, określoną grupę neuronów i określony mechanizm molekularny” - wymienia pierwsza autorka publikacji.

W tym przypadku „celowanie” odbywało się więc na różnych poziomach funkcjonowania organizmu.

Dalsze obserwacje wykazały, że obniżenie nadmiernej aktywności MMP9 w jądrze środkowym ciała migdałowatego przywracało myszom możliwość uczenia się, gdzie jest słodka woda, choć nie pomagało na zaburzone interakcje społeczne. Był to dowód na to, że poprzez odpowiednie „wyregulowanie” mechanizmu molekularnego w określonym obwodzie neuronalnym można wybiórczo korygować zaburzone zachowanie, czyli element znajdujący się na samym szczycie drabiny funkcjonowania organizmu. „Byłaby to zatem dobra terapia dla tych pacjentów, którzy największe problemy mają z uczeniem się, ale już nie dla tych, którzy w przeważającej mierze

borykają się z deficytami w sferze społecznej” - zaznacza prof. Knapska.

Na razie badania prowadzono wyłącznie na myszach. Badaczki podkreślają jednak, że ten najważniejszy krok został już wykonany. „Wiemy już, na których neuronach i na której ścieżce molekularnej powinniśmy się skoncentrować” - podkreślają, dodając, że nanocząstki wykorzystane w omawianym eksperymencie są obiecującym narzędziem terapeutycznym, stosowanym już zresztą z powodzeniem w terapii nowotworów. W jaki sposób opisywana metoda różni się od wcześniejszych prób hamowania aktywności MMP9 u osób z autyzmem?

Jak tłumaczą autorzy, jest ona dużo bardziej wybiórcza - dotyczy określonego objawu, określonej grupy neuronów i określonego mechanizmu molekularnego. Pozwala to na wyeliminowanie efektów ubocznych i korygowanie jedynie rzeczywiście występujących problemów. „Takie podejście jest ważne, gdyż zmiana aktywności grup neuronów funkcjonujących poprawnie zwykle prowadzi do zaburzenia ich funkcji, co w konsekwencji daje efekty uboczne. Istotne jest więc, żeby odróżnić neurony, których funkcjonowanie jest zaburzone, od tych działających prawidłowo” - mówi prof. Knapska.

Naukowcy mają nadzieję, że wymyślona przez nich metoda leczenia w przyszłości będzie można wykorzystywać nie tylko u pacjentów ze spektrum autyzmu, ale również u osób z innymi zaburzeniami neurorozwojowymi. „W wielu przypadkach znamy przyczynę genetyczną takich zaburzeń, czyli np. wiemy, który gen jest zmutowany lub który mechanizm molekularny nie funkcjonuje prawidłowo, ale brakuje nam wiedzy, jak u poszczególnych osób taka mutacja przekłada się na funkcjonowanie określonych grup neuronów. Zdobycie tej wiedzy pozwoliłoby na opracowanie odpowiednio celowanych terapii” - tłumaczą.

„Przyczyny autyzmu są bardzo złożone. Jednak takie badania jak nasze dają nadzieję na zlokalizowanie grup neuronów i ścieżek molekularnych z nimi związanych, które są podłożem specyficznych objawów u różnych pacjentów ze spektrum. To z kolei daje nadzieję na zaprojektowanie zindywidualizowanych terapii celujących w objawy konkretnego pacjenta” - podsumowuje dr Puścian.

Źródło: pap.pl

<http://laboratoria.net/aktualnosci/31353.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**