

Metoda leczenia choroby Sanfilippo, opracowana przez gdańskich naukowców została zakwalifikowana do drugiego etapu konkursu "Cudze chwalcie, swego nie znacie".

Konkurs, który jest współfinansowany przez Unię Europejską ma za zadanie promowanie osiągnięć nauki polskiej. Badania nad lekiem przeciwko chorobie Sanfilippo kierowane są przez profesora Grzegorza Węgrzyna, kierownika Katedry Biologii Molekularnej i Dziekana Wydziału Biologii Uniwersytetu Gdańskiego. Badania są obecnie w fazie prób klinicznych.

Choroba genetyczna Sanfilippo charakteryzuje się degradacją układu nerwowego. Powoduje stopniowe upośledzenie funkcji praktycznie wszystkich narządów i w konsekwencji śmierć. Pacjenci zwykle nie dożywają wieku dorosłego. Choroba występuje raz na kilkadziesiąt tysięcy urodzeń. Jak do tej pory nikt na świecie nie potrafił skutecznie z nią walczyć. Należy ona do mukopolisacharydoz (MPS), rzadkich chorób genetycznych. Pierwsze wyniki testów klinicznych pacjentów leczonych terapią opracowaną w Polsce, świadczą o zahamowaniu postępów choroby.

-W tej chwili nigdzie na świecie nie ma lekarstwa na MPS typu trzeciego. Leczy się tylko objawy. To właściwie opieka paliatywna, a i tak w niewielkim stopniu łagodzi ona objawy choroby - stwierdza prof. Grzegorz Węgrzyn.

W tej chwili trwają pilotażowe badania kliniczne na 20-osobowej grupie chorych dzieci, koordynowane przez prof. dr hab. med. Annę Tylki-Szymańską z Centrum Zdrowia Dziecka, przy współpracy z Dr Anną Liberek z Akademii Medycznej w Gdańsku.

- Nikomu na świecie jeszcze nie udało się nawet zahamować choroby Sanfilippo, a co dopiero ją odwrócić. Tymczasem my w próbach klinicznych już widzimy, że w wielu przypadkach nie tylko następuje zahamowanie postępu choroby, ale wręcz poprawa niektórych parametrów - podkreśla prof. Grzegorz Węgrzyn.

Źródło: <http://www.rynekzdrowia.pl/>