

# Gdański patent na śmiertelną chorobę

24 stycznia 2008 (63 opinie)



fot. Wojtek Jakubowski/KFP

Specyfik opracowany przez zespół prof. Grzegorza Węgrzyna pomyślnie przeszedł pierwszą fazę testów klinicznych. Nie wiadomo, czy znajdą się pieniądze na dalsze badania.

Czy w Trójmieście powstanie lek na śmiertelną chorobę Sanfilippo? Naukowcy z UG opracowali taki specyfik, ale na kolejne fazy niezbędnych badań klinicznych potrzebują kilkudziesięciu milionów złotych.

Preparat, który został opracowany przez zespół pod kierunkiem prof. **Grzegorza Węgrzyna** z Katedry Biologii Molekularnej UG, przeszedł pomyślnie przez pierwszą fazę badań klinicznych.

- *Wyniki są obiecujące. Wszystkie parametry choroby obserwowane u dzieci uległy poprawie. Wyniki naszych badań przyjęto do druku w czasopiśmie medycznym "Current Therapeutic Research", czyli zaakceptowano przez światowe środowisko naukowe - mówi dziennikarzom prof. Węgrzyn.*

Sanfilippo to trudna do zdiagnozowania choroba genetyczna, która występuje raz na 40-100 tys. urodzeń. W jej efekcie organizm nie produkuje enzymu odpowiedzialnego za przemianę cukrów złożonych, co prowadzi do odkładania ich w tkance łącznej i stopniowego niszczenia narządów. W kilkanaście lat u chorego następuje regres umysłowy. Mózg przestaje się prawidłowo kontaktować z organizmem i człowiek umiera.

Odkrycie naukowców z UG jest wyjątkowe, ponieważ jak dotąd nikomu nie udało się nawet zahamować choroby Sanfilippo, a tym bardziej jej odwrócić. Tymczasem wyniki pierwszej, trwającej rok fazy prób klinicznych są niezwykle optymistyczne. Następne próby także trwałyby około roku.

Kolejne fazy badań przeprowadza się z użyciem "podwójnie ślepej próby", czyli takiej, w której ani badani, ani badacze nie wiedzą, czy dana osoba przyjmuje placebo, czy właściwy specyfik. Gdyby wyniki tych faz były pomyślne, lek opracowany w Polsce można by rozprowadzać na całym świecie.

Takie badania są niezwykle kosztowne. Na ich sfinansowanie nie starczą środki uniwersytetu, ani nawet rządowe granty. Niezbędne jest wsparcie koncernów farmaceutycznych. Ponieważ jednak na całym świecie jest "jedynie" kilka tysięcy chorych na chorobę Sanfilippo, koncerny nie palą się do współfinansowania badań.

Kto powinien finansować badania nad nowymi lekami?

obligatoryjnie koncerny farmaceutyczne - 42%

instytucje ubezpieczeniowe - 5%

rządy narodowe - 31%

ONZ - 22%

łącznie głosów: 771

Z gdańskimi naukowcami współpracuje zespół dra **Briana Biggera** z University of Manchester w Wielkiej Brytanii. Razem prowadzą badania na myszach w zakresie oddziaływania genisteiny (podstawowy składnik leku) na organizmy żywe.

*- Eksperymenty na myszach są dla nas ważne, gdyż pozwalają odpowiedzieć na pytanie, czy podawany specyfik jest bezpieczny i czy w ogóle działa. Zanim podamy lek pacjentom, musimy być przekonani, że jest on bezpieczny. Mamy bardzo dobry, mysi model mukopolisacharydoz, stąd też wybrano do badań właśnie te zwierzęta - tłumaczył doktor Bigger w czasie wykładu na gdańskiej uczelni.*

Tymczasem, o metodzie polskich naukowców zrobiło się głośno. Podobne badania prowadzono są w USA i we Włoszech.

Sanfilippo to choroba genetyczna. To rodzaj mukopolisacharydozy (MPS) czyli wrodzonego zaburzenia przemiany materii, który występuje raz na 40-100 tys. urodzeń.

Choroba Sanfilippo (inaczej MPS III) ma trzy fazy. Pierwsza, tuż po urodzeniu dziecka, jest bezobjawowa. Po okresie od kilkunastu miesięcy do kilku lat następuje regres umysłowy połączona z hiperaktywnością. W ostatniej fazie choroby sygnały z mózgu przestają docierać do organizmu i człowiek umiera.

Mogą pojawiać się zachowania agresywne, dziecko prawie w ogóle nie śpi, przestaje komunikować potrzeby fizjologiczne, mówić i reagować. W trzeciej fazie choroby sygnały z mózgu przestają dochodzić do organów. Chory przestaje m.in. oddychać i umiera.



mr, (pap)