

Новости с Конференции по проблемам терапии БГ - 2012: день второй

Наш обзор второго дня работы Конференции по проблемам терапии болезни Гентингтона



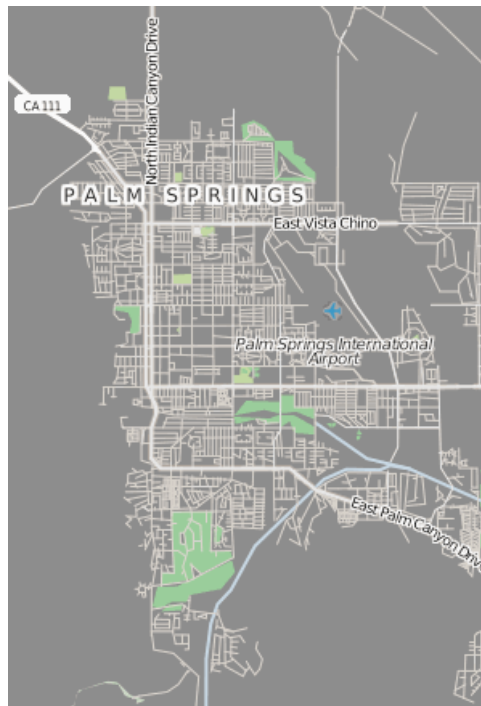
Публикация Dr Ed Wild 2 марта 2012 Под редакцией Dr Jeff Carroll

Перевод Dr Yury Seliverstov Первоначально опубликовано 1 марта 2012

Второй выпуск наших ежедневных обзоров с Конференции по проблемам терапии болезни Гентингтона в Палм-Спрингс, Калифорния. Второй день был посвящён проблеме подавления экспрессии гена. Вы можете отправлять свои вопросы, комментарии и пожелания через Twitter (@HDBuzzFeed) или электронную почту (palmssprings@hdbuzz.net).

Среда, 29 февраля 2012 года

9:03 - Новости с Конференции по проблемам терапии БГ: сегодняшнее утро было посвящено обсуждению подавления экспрессии гена - очень привлекательной потенциальной методики лечения. Следите за обновлениями!



Конференция по проблемам терапии болезни Гентингтона проводится в Палм-Спрингс, Калифорния

9:35 - **Бэверли Дэвидсон** (Beverly Davidson), Университет Айовы: “Подавления экспрессии мутантного гена БГ у мышей показало свои очевидные преимущества, однако, нам необходимо иметь ввиду возможное непредвиденное токсическое действие препаратов”

9:45 - **Дэвидсон** является автором одной из трёх недавних работ, показывающих безопасность применения подавления экспрессии гена на приматах - это ключевой этап на пути к проведению клинических исследований на людях

9:49 - Исследовательская группа под руководством **Дэвидсона** в настоящее время работает над новым подавляющим экспрессию гена препаратом, действие которого направлено в большей степени на мутантную копию гена, нежели на “здоровую”.

9:50 - Селективное воздействие на мутантный аллель гена может быть более безопасным подходом, однако создание такой методики вызывает много проблем. В настоящее время разрабатываются оба способа.

10:06 - **Фрэнк Беннетт** (Frank Bennett) (компания Isis Pharmaceuticals) использует для подавления экспрессии гена ДНК-подобные молекулы - антисмысловые олигонуклеотиды (АСО)

10:07 - **Беннетт**: “Нам крайне повезло - похоже, что экспрессия гена гентингина подавляется относительно легко по сравнению с другими генами”

10:10 - **Беннетт**: “АСО проникают в клетки лучше, чем препараты интерферирующих РНК. Вполне возможно, что таким образом удастся избежать проведения пациентам хирургических вмешательств на головном мозге”.

10:13 - Компания **Беннетта** Isis pharmaceuticals имеет большой опыт в вопросе подавления экспрессии гена - более 2000 пациентов, страдающих другими заболеваниями, получали лечение созданными ей препаратами

10:17 - **Беннетт**: “При тестировании на двух разных мышинных моделях БГ введение препаратов АСО приводило к улучшениям в координаторной и когнитивной сферах”

10:19 - **Беннетт**: “У приматов введения АСО-препаратов в цереброспинальную жидкость было достаточно для того, чтобы лекарство распространилось в большом объёме вещества головного мозга”

10:22 - **Беннетт**: “Даже однократное введение подавляющих экспрессию гена АСО может привести к лечебному эффекту. Однако доставка препарата к глубинным структурам головного мозга остаётся проблемой”

10:25 - **Беннетт**: “У многих людей две копии гена гентингина различаются не только количеством ЦАГ-повторов, но также и другими участками генетического кода. Эти участки могут быть использованы как ориентиры для создания препаратов, избирательно

блокирующих только мутантный ген”.

11:04 - **Стив Жанг** (Steve Zhang), компания Sangamo BioSciences: “Цинк-пальцевые белки могут образовывать связи со специфическими последовательностями молекулы ДНК, что создаёт предпосылки к возможности направленного изменения генов”

11:07 - Для всех, кому интересны подробности, на веб-сайте скоро будут опубликованы видео-записи обсуждений с конференции; мы также работаем над написанием итоговой статьи по конференции

11:10 - **Жанг**: “Цинк-пальцевые белки могут также быть использованы в модифицировании стволовых клеток при изучении типовых патологических процессов в клетках человека”

«У многих людей две копии гена гентингина различаются не только количеством ЦАГ-повторов, но также и другими участками генетического кода. Эти участки могут быть использованы как ориентиры для создания препаратов, избирательно блокирующих только мутантный ген. »

11:18 - **Жанг**: “Компания Sangamo добилась успехов в излечении гемофилии на мышиных моделях с использованием направленного изменения генома”

11:19 - **Жанг**: “Одной из методик подавления экспрессии гена может быть использование цинк-пальцевых белков, которые имеют свойство включать и выключать гены”

11:20 - **Жанг**: “Мы также можем попробовать включить полезные для нас гены, заставив тем самым головной мозг продуцировать больше защитных химических веществ”

11:25 - **Жанг**: “Уже скоро начнётся клиническое испытание препарата на основе цинк-пальцевых белков в лечении болезни Паркинсона, заставляющего головной мозг продуцировать глиальный нейротрофический фактор, который обладает защитными свойствами”

11:26 - В настоящее время Sangamo принимает участие в исследованиях по болезни Гентингтона.

11:29 - **Жанг**: “В настоящее время в стратегию Sangamo входят исследования по уменьшению синтеза гентингина с использованием специально синтезированных цинк-пальцевых препаратов”

11:36 - **Жанг**: “Эта компания также работает над созданием цинк-пальцевых препаратов, которые бы оказывали своё действие только на копию гена гентингина с увеличенным числом ЦАГ-повторов”

11:53 - **Билл Кэммерер** (Bill Kaemmerer), компания Medtronic: “Для проведения новых клинических испытаний препаратов, подавляющих экспрессию гена, нам необходимо определить комплекс биомаркёров - показателей безопасности и эффективности лечения”

12:02 - **Кэммерер**: “При проведении ранних клинических испытаний препаратов интерферирующих РНК будет использоваться комплекс обследований, включающий МРТ-исследование, биохимическое исследование спинномозговой жидкости и клиническое обследование пациента”

12:07 - **Кэммерер** входит в состав исследовательской группы, работающей над испытанием на приматах препаратов, подавляющих экспрессию гена гентингина

12:37 - **Нэйл Аронин** (Neil Aronin) с медицинского факультета Массачусетского университета со своей командой занимается детальным изучением механизмов действия интерферирующих РНК, подавляющих экспрессию гена, с целью разработки качественного лекарственного препарата

12:46 - **Аронин** и его исследовательская группа отрабатывают на овцах нейрохирургические методики, требующиеся в дальнейшем для проведения клинических испытаний подавляющих экспрессию гена препаратов на людях

Итоги дня

В разработке находится одновременно несколько различных подходов к подавлению экспрессии гена гентингина, функционирование которого является первопричиной всех нарушений при БГ. Конечно, остаются еще некоторые нерешённые проблемы, однако, основные трудности, которые возникали в процессе работы над лекарственными препаратами, уже решены. Планируется проведение нескольких клинических испытаний с участием пациентов с БГ, которые стартуют уже, скорее всего, в течение ближайших месяцев, а не лет. Ставки высоки, но они стоят того.

Расходы по регистрационным взносам доктора Уайлда и доктора Кэролла за участие в Конференции по проблемам терапии БГ были любезно покрыты CHDI Inc., спонсором конференции, однако, посещение ими конференции осуществляется при поддержке HDBuzz и Европейской сети по БГ из фондов, независимых от CHDI. CHDI не имеет никакого отношения к написанию статей на HDBuzz по работе конференции. Для получения более подробной информации о политике распространения информации перейдите в наш раздел [ЧаВо...](#)

© HDBuzz 2011-2018. Вся информация с HDBuzz может распространяться бесплатно с ссылкой на источник, согласно Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz не является источником медицинских рекомендаций. Подробная информация - на сайте hdbuzz.net

Сформировано 20 июня 2018 — Загружено с <https://ru.hdbuzz.net/076>

Некоторая информация на этой странице до сих пор не переведена. Она отображается ниже на языке

оригинала. Мы работаем над тем, чтобы перевести весь текст как можно скорее.