



Substancja aktywna oraz kompozycja farmaceutyczna do zastosowania w leczeniu choroby Huntingtona

O rozwiązaniu

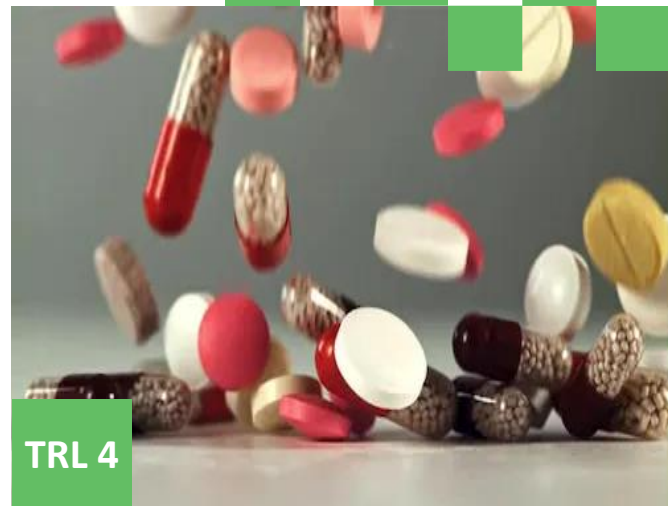
Opracowana technologia umożliwia zastosowanie medyczne 5,7-dihydroksy-3-(4-hydroksyfenylo)-4H-1-benzopiran-4-onu do wytwarzania leku powodującego zmniejszenie wielkości i liczby agregatów białkowych oraz spadek całkowitej ilości zmutowanej formy huntingtyny, a w konsekwencji znaczne spowolnienie lub nawet zahamowanie postępowania choroby Huntingtona.

Choroba Huntingtona należy do grupy genetycznych chorób neurodegeneracyjnych.

W krajach rozwiniętych choroba występuje z częstotliwością około 1 na 15 000 osób i stanowi poważne obciążenie ekonomiczne, ze względu na wysokie koszty opieki nad chorymi, wynoszące około 25 tys. euro za osobę rocznie. Bezpośrednią przyczyną choroby jest mutacja w genie kodującym białko huntingtynę. Zmutowana postać białka wykazuje tendencję do tworzenia agregatów białkowych w komórkach, co prowadzi do zaburzenia funkcji neuronów i postępującej neurodegeneracji niektórych obszarów mózgu, czego skutkami klinicznymi są zaburzenia koordynacji ruchowej oraz demencja. Pomimo prowadzonych badań, dotychczas nie powstała skuteczna metoda leczenia choroby Huntingtona.

Istniejące terapie farmakologiczne oraz fizjoterapie służą przede wszystkim złagodzeniu objawów choroby. Genisteina 5,7-dihydroksy-3-(4-hydroksyfenylo)-4H-1-benzopiran-4-on czyli związek z grupy izoflawonów naturalnie występujący w roślinach w postaci wolnej (jako aglikon) lub częścię związany glikozydowo (genistyna), powoduje obniżenie poziomu zmutowanej formy huntingtyny w hodowlach komórek ludzkich. Istotą wynalazku jest zastosowanie medyczne 5,7-dihydroksy-3-(4-hydroksyfenylo)-4H-1-benzopiran-4-onu do wytwarzania leku aktywnie hamującego wielkość i liczbę agregatów białkowych.

Przeprowadzone badania wykazały pozytywne działanie genisteiny w postaci wzrostu przeżywalności komórek. Opisana metoda powoduje obniżenie poziomu zmutowanej formy huntingtyny w hodowlach komórek ludzkich.



TRL 4

Autor

prof. dr hab. Grzegorz Węgrzyn
dr Sylwia Barańska
dr Aleksandra Hać
dr hab. Karolina Pierzynowska

Poziom gotowości technologicznej

TRL 4 – Technologia zwalidowana w warunkach laboratoryjnych

Ochrona IP

Wynalazek jest chroniony patentem międzynarodowym EP3300730

Możliwości współpracy

- Sprzedaż praw własności
- Licencja
- Partnerstwo w zakresie dalszych badań i komercjalizacji

