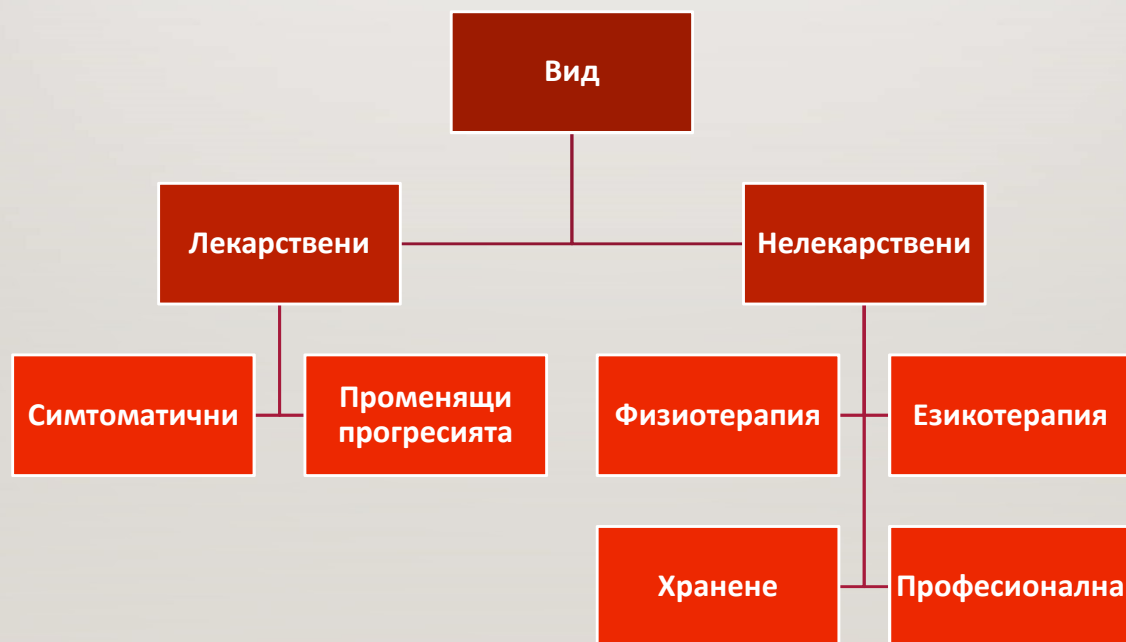


НОВИ ТЕРАПИИ В ИЗПИТАНИЯ

Д-Р ЮЛИАНА БРОНЗОВА, д.н.

ВИДОВЕ ТЕРАПИИ ЗА БОЛЕСТТА НА ХЪНТИНГТОН



БОЛЕСТТА НА ХЪНТИНГТОН

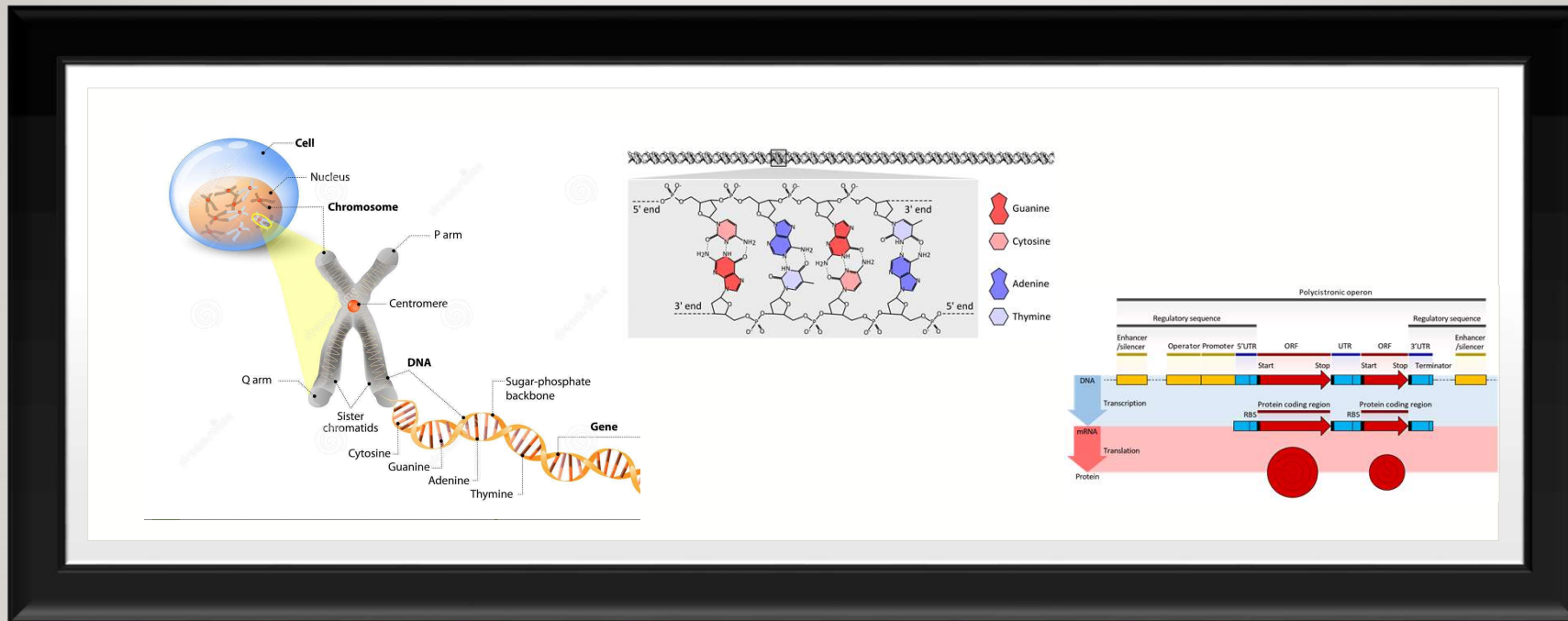
ВИДОВЕ ТЕРАПИИ В РАЗВИТИЕ

- Симптоматични – някои примери
 - Tetrabenazine deutetrabenazine (Auspex Pharmaceuticals/ Teva) – Austedo – сега одобрен в САЩ
 - Pridopidine (Teva)
 - Контрол на моторните симптоми – за съжаление не успя да докаже основната цел на проучването
 - Резултатите за възможна подобрена функция – значимостта предизвика дебати сред изследователските среди
 - Amaryllis study – PDE-10 inhibitor (Pfizer)
 - Отрицателни резултати
 - SRX246 is a first-in-class, orally bioavailable, CNS-penetrating Vasopressin 1a (V1a) receptor antagonist
 - Поведение - раздразнителност: Проучването се очаква да завърши 2018

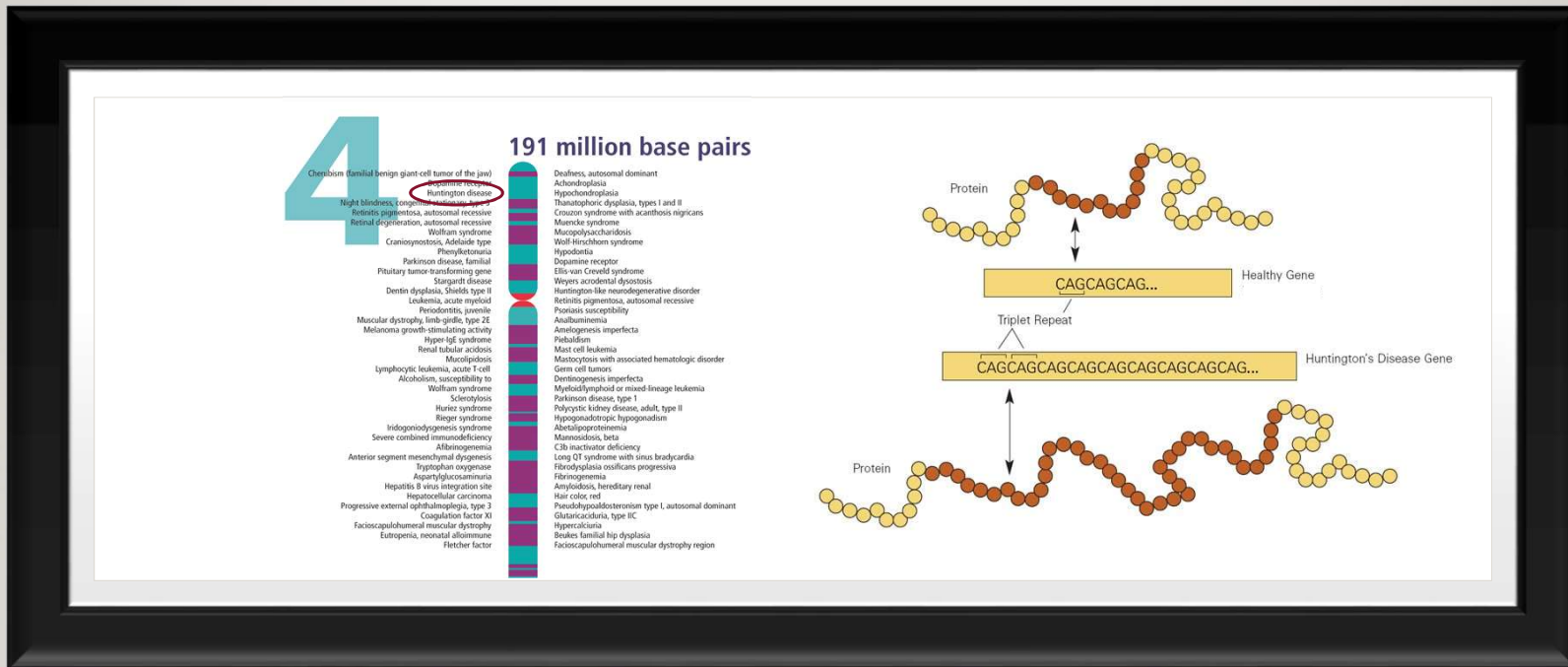
БОЛЕСТТА НА ХЪНТИНГТОН

ВИДОВЕ ТЕРАПИИ В РАЗВИТИЕ

- Терапии целящи спиране или забавяне прогресията на болестта
 - ASO –(антисенс олигонуклеотиди) – целящи намаляване на Хънтингтоновия протеин
 - Две компании със проучвания в хора (IONIS,WAVE) – хронична апликация
 - Генна терапия за намаляване на продукцията на Хънтингтоновия протеин – еднократна апликация
 - uniQure – напредваща програма в очакване на започване на проучване в хора в близко бъдеще
 - Трансплантация на мозъчни клетки
 - Европейски консорциум
- Нови технологии в експериментална фаза
 - CRISPR-Cas9 (система за прецизно редактиране на ДНК)



ОТ ГЕНОМ ДО ПРОТЕИН



БОЛЕСТТА НА ХЪНТИНГТОН
