

Preložený text

Proteínová substitučná terapia (Protein replacement therapy)

Projekt proteínovej náhrady je v štádiu rozpracovania a počiatočné výsledky sú povzbudzujúce. Tento projekt je sústredený najmä na pôde Bolonskej univerzity a pôvodne bol financovaný štedrými dotáciami Talianskej asociácie a z menšieho grantu od CDKL5 UK. Vznikla spoločnosť **MiaMed Inc.**, ktorú založil rodič CDKL5 dieťaťa na zabezpečenie pokračujúceho financovania a smerovanie vývoja proteínu. Zakladateľ zohral kľúčovú úlohu pri presadzovaní tohto projektu nielen zabezpečím jeho **kompletného** financovania, ale aj získaním podpory od pôsobivej rady poradcov vrátane akademických a klinických odborníkov.

Mimoriadne povzbudzujúce je, že experimenty s modelmi knock-outnutých myší ukázali zlepšenie **neuronálnej** štruktúry, **funkčnej** a **čo je najdôležitejšie – kognitívnej** schopnosti. Tieto výsledky nabádajú k ďalšiemu skúmaniu. Projekt je teraz zameraný na objasnenie najvhodnejšieho **dávkovania** ako aj na zistenie **tolerovateľnosti** a **toxicity** injektovania (vstreknutia) náhrady proteínu CDKL5. Máme **nádej**, že proteínová substitučná terapia sa v budúcnosti stane terapeutickou možnosťou. Ďalšie informácie si môžete vyžiadať od: Carol-Anne Partridge, carolanne@cdkl5uk.org

Zdroj: www.curecdkl5.org

Pôvodný text

Protein Replacement Therapy Update

The protein replacement project is ongoing and initial results are encouraging. This effort is primarily centered at the University of Bologna and was initially funded through the generous donations of the Italian Association and a small grant from CDKL5 UK. **MiaMed Inc**, a company founded by a **CDKL5** parent, has been formed to provide ongoing funding and direct the protein's development. The founder has been instrumental in pushing this project forward by not only ensuring that it is **fully** financed, but also by recruiting support from an impressive board of advisors including academic and clinical experts.

What is extremely encouraging is that experiments using the knock-out mouse model have shown improvement in **neuronal** structure, **function** and **most** importantly, **cognitive** ability. These results support further investigation. The project is now focused on understanding the best **dosing** regimen as well as the **tolerability** and **toxicity** of injecting CDKL5. We remain **hopeful** that protein replacement therapy will become a treatment option in the future. For additional information, please contact Carol-Anne Partridge, carolanne@cdkl5uk.org.

Source: www.curecdkl5.org