

Jaskra jest przewlekłą, neurodegeneracyjną chorobą powodującą uszkodzenie komórek zwojowych siatkówki oraz wyższych pięter drogi wzrokowej. Nieleczona jaskra może prowadzić do całkowitej i nieodwracalnej ślepoty. Światowa Organizacja Zdrowia uznała jaskrę za chorobę społeczną, będącą główną przyczyną nieodwracalnej ślepoty na świecie. Jej skryty przebieg powoduje, że w chwili rozpoznania jest już zwykle przyczyną znacznego upośledzenia widzenia. „Podstępność” jaskry związana jest przede wszystkim z faktem, iż we wczesnych stadiach przebiega ona bezobjawowo powodując powolną utratę obwodowych części pola widzenia. Choroba zaczyna być dostrzegalna w chwili, gdy ograniczenie pola widzenia jest na tyle znaczne, że wpływa na codzienne funkcjonowanie chorych. Szacuje się, że około 70 milionów osób na świecie cierpi z powodu jaskry, co stanowi około 1-2% światowej populacji. Rocznie przybywa około 7,5 mln nowych zachorowań a całkowita liczba chorych na jaskrę może osiągnąć 76 milionów w 2020 i nawet 112 milionów w 2040 roku. Przyczyną znacznego wzrostu częstości występowania tej choroby jest globalny proces starzenia się społeczeństwa oraz choroby cywilizacyjne – przede wszystkim cukrzyca i choroby sercowo-naczyniowe. W Polsce problem jaskry szacunkowo dotyczy liczby około 700 000 osób, z czego przypuszcza się, że nawet połowa nie wie o swojej chorobie.

W populacji europejskiej, około 70% przypadków jaskry jest związanych z podwyższonym ciśnieniem wewnątrzgałkowym – najważniejszym, mierzalnym czynnikiem ryzyka. Obecna terapia jaskry oparta jest przede wszystkim na różnych metodach obniżania ciśnienia wewnątrzgałkowego. Jednakże, progresja utraty wzroku postępuje nadal u części pacjentów, pomimo stosowania maksymalnych dla oka dawek leków obniżających ciśnienie wewnątrzgałkowe. Na chwilę obecną brakuje skutecznych terapii neuroprotektoryjnych (czyli chroniących komórki nerwowe, a takimi są komórki zwojowe siatkówki, przed obumieraniem), które można stosować w jaskrze. W związku z tym, poszukiwanie takich terapii, umożliwiających zahamowanie obumierania komórek zwojowych siatkówki oraz pobudzenia ich regeneracji (czyli odnawiania się) wciąż jest ważnym i aktualnym problemem.

Celem naszego projektu jest opracowanie nowatorskiej eksperymentalnej terapii genowej dla protekcji komórek zwojowych siatkówki w jaskrze. W oparciu o nasze obserwacje z dotychczas prowadzonych projektów jako cel naszej terapii obraliśmy białko regulatorowe występujące w komórkach zwojowych o nazwie HuR. Białko to ma kluczowe znaczenie w regulowaniu odpowiedzi komórek na czynniki uszkodzające, a do takich należy między innymi podwyższone ciśnienie wewnątrzgałkowe. W warunkach eksperymentalnej jaskry, u zwierząt jak również u pacjentów cierpiących na jaskrę wykazaliśmy, że zawartość białka HuR w komórkach nerwowych siatkówki jest znacznie obniżona. Dzięki zastosowaniu terapii genowej, u szczurów z wywołaną eksperymentalnie jaskrą z wysokim ciśnieniem wewnątrzgałkowym planujemy eksperymentalnie zwiększyć zawartość białka HuR w komórkach zwojowych siatkówki. Właściwe doświadczenia, w których wykorzystane zostaną zwierzęta poprzedzone zostaną badaniami wstępnymi z wykorzystaniem hodowli komórkowej oraz hodowli tkankowej – szczurzych siatkówek. Etapy wstępne mają na celu ocenić skuteczność i bezpieczeństwo naszej terapii.

W naszym badaniu oczekujemy, że zaobserwujemy pozytywny, protekcyjny efekt terapii genowej wyrażający się w zahamowaniu progresji jaskry u zwierząt bez względu na wartości ciśnienia wewnątrzgałkowego. Zaproponowana przez nas terapia genowa mogłaby stanowić podstawę prowadzenia dalszych badań celem stworzenia analogicznej terapii dla człowieka. Obecne strategie terapeutyczne polegające na obniżaniu ciśnienia wewnątrzgałkowego mogłyby zostać wzbogacone o powyższą terapię genową, zmieniając w ten sposób schemat leczenia jaskry.