

Zespoły mielodysplastyczne (MDS) to różnorodne, klonalne zaburzenia komórek macierzystych charakteryzujące się niewydolnością szpiku kostnego i zwiększonym ryzykiem transformacji w ostrą białaczkę szpikową (AML). Częstość występowania MDS (jak również AML) wzrasta wraz z wiekiem, a przy obecnie stosowanych terapiach, poza przeszczepem szpiku kostnego choroba jest nieuleczalna. Rocznie diagnozuje się ok 20 nowych przypadków na 100 tysięcy osób powyżej 65 roku życia. MDS stanowi poważny problem zdrowotny przyczyniający się do przedwczesnej śmiertelności, szczególnie na obszarach o rosnącej populacji osób starszych. MDS są chorobami śmiertelnymi u większości pacjentów. Ponadto zaobserwowany 5-letni wskaźnik przeżywalności może wynosić nawet mniej niż 29%. Pilnie potrzebne są nowe terapie. W AML od ponad trzydziestu lat nie odnotowano postępu w zakresie strategii terapeutycznych. Jednym wyjątkiem jest ostra białaczka promielocytowa (APL), którą skutecznie leczono kombinacją kwasu all-trans-retinowego (ATRA), pochodnej witaminy A oraz chemioterapii lub trójtlenku arsenu. Co ciekawe, wskaźnik wyleczeń w APL zbliża się prawie do 100%. Kluczowym celem wyznaczonym w naszych badaniach jest poszerzenie sukcesu stosowania ATRA jako środka terapeutycznego na MDS i inne podtypy AML.

Niedawno odkryliśmy, że skojarzona terapia kwasem all-trans-retinowym (ATRA) i lekiem przeciwdepresyjnym (TCP, tranilcypromina) w warunkach laboratoryjnych ma silne działanie przeciwbiałaczkowe. Oba te leki są stosowane w przypadku innych stanów chorobowych. Korzystając z nowych technologii genomowych, planujemy lepiej zrozumieć mechanizm działania ATRA/TCP co pozwoli na ich wykorzystanie w tanim i niecytotoksycznym leczeniu pacjentów z MDS i AML, którzy desperacko potrzebują bardziej skutecznych i bezpieczniejszych terapii.