

Dystrofia mięśniowa Duchenne'a (DMD) to niebezpieczna choroba genetyczna. Dziedziczona jest w sposób sprzężony z płcią, dotyczy spontanicznej mutacji w genie dystrofiny. Chorują na nią wyłącznie chłopcy z częstością 1 na 3500 urodzeń. W chorobie DMD, mutacje w genach kodujących dystrofinę-jedno z białek mięśniowych, prowadzi do zaburzeń w pracy mięśni szkieletowych, ich degeneracji, często kolejnym etapem w przebiegu choroby jest osłabienie mięśni posturalnych, oddechowych i często mięśnia sercowego. Niestety nie ma skutecznego lekarstwa na tą chorobę.

Celem badań będzie zastosowanie i ocena nowej metody leczenia jaką jest terapia komórkami macierzystymi SM-SPCs i AT-MSK.

Proponujemy metodę leczenia DMD polegającą na wykorzystaniu właściwości komórek macierzystych. Komórki macierzyste/progenitorowe mięśni szkieletowych (SM-SPCs) wydają się być odpowiednim kandydatem w terapii komórkowej, posiadają one zdolności do odbudowy uszkodzonych mięśni i formowania nowych aparatów kurczliwych. Zastosowanie ko-transplantacji SM-SPCs wraz z populacją komórek mezenchymalnych (AT_MSK) o zdolnościach przeciwzapalnych, może dodatkowo poprawić efekt terapeutyczny. Komórki zostaną wprowadzone do mięśni dystroficznych na drodze iniekcji.

Badania będą miały charakter przedkliniczny i będą przeprowadzone na zwierzętach laboratoryjnych-myszach rozwijających dystrofię mięśniową. Efekt terapeutyczny zostanie oceniony na podstawie szeregu zaawansowanych metod: testów funkcjonalnych przeprowadzonych na zwierzętach z zastosowaniem telemetrii, testów biologii molekularnej i elektromiograficznej ocenie mięśni bezpośrednio poddanych terapii. Zebrane dane i wyniki pozwolą na ocenę zaproponowanej terapii, a w efekcie możliwość zastosowania jej u ludzi.