

Rumo à pesquisa de CMT1A!

Um artigo publicado no dia 4 de dezembro de 2017 no site do Journal of Clinical Investigation (JCI), revela um potencial tratamento para pacientes com Charcot-Marie-Tooth (CMT), a doença neuromuscular progressiva que afeta mais de 2,8 milhões de pessoas em todo o mundo. Os cientistas da Lonis Pharmaceuticals, em colaboração com a Associação Americana de Charcot-Marie-Tooth (CMTA), identificaram uma abordagem terapêutica promissora em fase inicial com tecnologia anti-sentido para CMT Tipo 1A (CMT1A), a forma mais comum da doença, representando metade de todos os casos. Atualmente não há tratamento ou cura para CMT, tornando a pesquisa CMT1A um avanço significativo e esperançoso para pesquisadores, profissionais de saúde, pacientes e familiares.

Os pesquisadores da Lonis usaram seus conhecimentos como líderes mundiais no desenvolvimento de oligonucleótidos antisentidos, que visam precisamente os genes que causam as doenças como a CMT. Eles desenvolveram drogas anti-sentido projetadas para reduzir a quantidade de RNA (Ácido Ribonucleico) da PMP22 (Proteína de Mielina Periférica 22), que por sua vez reduz a produção da proteína PMP22. Os pesquisadores testaram os compostos anti-sentido mais potentes em dois tipos de animais diferentes com os genes de CMT1A. Em ambos tipos de animais, as injeções semanais do fármaco anti-sentido com PMP22 inibiram a progressão da neuropatia e até melhoraram alguns aspectos da neuropatia durante o tratamento.

Motivado pelas emocionantes descobertas pré-clínicas, a Lonis vem otimizando as drogas anti-sensores contra o RNA de PMP22 humano para identificar aqueles que têm a maior promessa para futuros ensaios clínicos em pessoas com CMT1A. "Estamos nos aproximando de oferecer terapias para uma doença que, até hoje, não teve opções de tratamento viáveis", disse Amy Gray, CEO da Associação Americana de Charcot-Marie-Tooth. "Graças aos nossos doadores e à nossa parceria com a Lonis, demos um passo importante no avanço de um medicamento em potencial para pacientes que sofrem de CMT1A. Nosso progresso demonstra a importância do financiamento da CMTA e encorajará os adeptos a acreditarem em um futuro aonde as pessoas com esta doença possam caminhar, correr, dançar e aproveitar a vida ao máximo".

Referência: <https://www.cmtausa.org/cmt1a-research-breakthrough/>

Tradução: Lucas Rafael