

A pirofoszfát felszívódásának és a kezelés hosszú távú hatásainak tesztelése egy lehetséges humán terápia bevezetésének céljából

A lágy szövetekben észlelt meszesedési folyamatok háttérében sokféle környezeti ártalom (pl. dohányzás) illetve összetett kóros állapot (pl. krónikus vesebetegség), a természetes öregedés és számos genetikai betegség állhat. Csoportunk két ilyen genetikai eredetű meszesedési rendellenességgel foglalkozik, a betegség egér modelljeit használva. Az általunk vizsgált, lágy szöveti meszesedéssel járó betegségek lefolyása nehezen megjósolható és rontja az életminőséget: kialakulhat központi látásvesztés és szív- és érrendszeri problémák jelentkezhetnek, súlyosabb esetekben az érrendszerben felhalmozódó tünetek miatt az újszülöttek egy része nem éli meg a harmadik hónapot. Ezekre a betegségekre jelenleg nincs gyógy mód.

A betegségek háttérében két fehérje meghibásodása áll. Ezen fehérjék működése biztosítja a keringésben a pirofoszfát normál szintjét. A pirofoszfát egy egyszerű természetes molekula, amelynek szerepe szervezetünkben a meszesedési folyamatok megakadályozása, de az élelmiszeriparban is használják állományjavítóként. Korábbi munkánkban kimutattuk, hogy a kóros meszesedési betegségek egér modelljeiben (amelyeket alacsony pirofoszfát szint jellemez) az egerek kezelése pirofoszfáttal megakadályozta a lágy szöveti meszesedést, azonban egyrészt a molekuláris mechanizmusra eddig még nem derült fény, másrészt ahhoz, hogy ebből emberek által is alkalmazható gyógy mód lehessen, elengedhetetlenül szükséges a pirofoszfát kezelés hosszú távú hatásának vizsgálata és a leghatékonyabban felszívódó formula megállapítása. A további kísérleteinkben ezeket szeretnénk vizsgálni. A megfelelő dózisú és a leghatékonyabban felszívódó formulájú pirofoszfát tesztelését tervezzük elvégezni, valamint az egereket 10 hónapig itatjuk pirofoszfáttal, és megfigyeljük, hogy hosszú távon is hatásos-e a kezelés, nincsenek-e mellékhatásai, illetve vizsgáljuk, milyen molekuláris folyamatok vezetnek a meszesedés megakadályozásához.

Kísérleteink során a pirofoszfát kezelés miatt az egerek nem fognak fájdalmat érezni. A kísérletekhez mindig a minimálisan szükséges állatszámot használjuk. Az egyik kísérleti csoportban az egerek altatásban, gyomorszondán keresztül kapják majd a pirofoszfátot, és különböző időpontokban történő vérvétel után határozzuk meg a felszívódás hatékonyságát. A meszesedési tünetek enyhítését egy másik pirofoszfát itatásos kísérletben teszteljük. Ennek a vizsgálatnak a célja az, hogy megbizonyosodjunk róla, hogy a meszesedést megakadályozó pirofoszfát kezelés hosszú távon nem okoz semmilyen problémát. Mivel a pirofoszfát ismert élelmiszeripari adalék, amit széles körben használnak, tudjuk hogy az általunk használni tervezett mennyiség nem mérgező, de a hosszútávú hatásait még nem vizsgálta senki. Ahhoz, hogy a pirofoszfátból meszesedési betegségekben szenvedő emberek kezelésére alkalmas gyógyszer lehessen, feltétlenül szükséges a hosszabb távú kezelés hatásának vizsgálata egereken.