

Niespodziewane odkrycie szansą na walkę z mukowiscydozą

4 sierpnia 2018

Odkrycie nowego typu komórek może całkowicie zmienić sposób poszukiwania leków na mukowiscydozę. Na łamach „Nature” poinformowano o zidentyfikowaniu komórek, które prawdopodobnie odgrywają kluczową rolę w zapewnieniu odpowiedniego nawodnienia i równowagi pH w płucach.



Od dawna wiadomo, że u osób cierpiących na tę śmiertelną chorobę dochodzi do nieprawidłowego formowania się protein tworzących śluz, a to zaś powoduje nierównowagę pomiędzy solą i wodą oraz odwodnienie płuc. W efekcie w płucach gromadzi się gruba warstwa gęstego śluzu utrudniająca oddychanie i prowadząca do zagrażających życiu infekcji. Dotychczas naukowcy uważali, że w powstawanie choroby zaangażowane są różne rodzaje komórek i nie mieli możliwości technicznych, by stwierdzić, w których komórkach występują nieprawidłowe białka.

Nowe komórki nazwano roboczo „jonocytami płucnymi”, gdyż

wyduje się, że są zaangażowane w transport jonów przez tkankę płucną. Wydaje się również, że u pacjentów z mukowiscydozą to właśnie w nich powstaje duża ilość protein śluzu zwanych błonowymi regulatorami przewodnictwa (CFTR), których zmutowana forma wywołuje mukowiscydozę. Fakt, że umykało to nauce tak długo, „świadczy o stopniu skomplikowania tej choroby oraz o tym, że dobrze nie rozumiemy komórkowej budowy i funkcjonowania płuc”, mówi pulmonolog Jayaraj Rajagopal z Massachusetts General Hospital, jeden z autorów artykułu opublikowanego w „Nature”.

Obecnie na całym świecie żyje około 70 000 osób cierpiących na mukowiscydozę. Często dochodzi u nich do infekcji płuc, czasami cierpią też na niedożywienie, gdyż gęsty śluz może blokować absorpcję składników odżywczych w trzustce. Osoby takie zwykle młodo umierają. Najnowsze leki przedłużają ich życie, jednak obecnie mediana życia dla chorego na mukowiscydozę wynosi około 40 lat. Choroba pozostaje nieuleczalna.

Nie należy się jednak spodziewać, że odkrycie nowych komórek doprowadzi do szybkiej zmiany sytuacji. Już teraz dostępne leki poprawiają funkcjonowanie genu związanego z nieprawidłowym CFTR, dzięki czemu śluz jest cieńszy i mniej lepki. Jednak Rajagopal wierzy, że odkrycie doprowadzi do zmiany sposobu poszukiwania terapii, dzięki czemu z czasem może powstać lek na mukowiscydozę. „To całkowita zmiana spojrzenia, która pozwala na zaatakowanie choroby w inny sposób”, mówi uczony. Celem badań, które prowadził z zespołem, nie była zmiana zrozumienia mukowiscydozy. Naukowcy chcieli jedynie przeanalizować komórki wyściółki tchawicy. Gdy jednak już je posegregowali, zauważyli, że mają siedem rodzajów komórek. Dotychczas znano sześć rodzajów. Okazało się też, że ten siódmy rodzaj masowo wytwarza CFTR.

Naukowcy z Mass General i Broad Institute badali początkowo myszy ze zdrowym i zmutowanym CFTR. Potwierdzili też, że jonocyty płucne są obecne w zdrowych ludzkich płucach. 0

podobnych wynikach poinformował inny zespół, z firmy Novartis i Harvard Medical School.

Broad Institute prowadzi badania w ramach Human Cell Atlas, międzynarodowego projektu, którego celem jest stworzenie mapy każdej komórki w ciele człowieka. Profesor Aviv Regev i jego zespół z MIT, którzy biorą udział w badaniach, zsekwencjonowali geny pojedynczych komórek znalezionych w tchawicy i pogrupowali na podstawie podobieństw i różnic. To właśnie wtedy zauważono, że w wyściółce tchawicy występuje nieznany dotychczas rodzaj komórek. Po badaniach na myszach naukowcy zbadali zdrowe płuca zmarłych ludzi i potwierdzili, że i tam występują jonocyty płucne.

Na razie jednak nie zbadano płuc osób z mukowiscydozą pod kątem obecności tam jonocytów płucnych. Ponadto wynikiem przeprowadzonych badań powinni jeszcze przyjrzeć się specjaliści od mukowiscydozy. Jednak już teraz podkreślają oni, że mamy do czynienia z ważnym odkryciem.

Tymczasem doktor Rajagopal stwierdził: „jedną z rzeczy, które wzbudzają moje zdumienie jest fakt, że dotychczas dokonaliśmy olbrzymiego postępu w badaniach nad mukowiscydozą nie posiadając tak istotnej informacji. To zaś wzbudza mój optymizm, gdyż pokazuje, że można dokonać olbrzymich postępów nie wiedząc wszystkiego”.

Autorstwo: Mariusz Błoński

Zdjęcie: Augusta University

Na podstawie: ScientificAmerican.com

Źródło: KopalniaWiedzy.pl