

Софронова Виктория Максимовна¹, Сейго Тераваки², Васильев Филипп Филиппович², Таканобу Отомо², Максимова Надежда Романовна¹

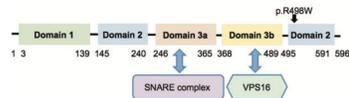
Поиск лечения мукополисахаридоз-плюс синдрома (МПСПС)



МПСПС



с.1492C>T p.R498W в VPS33A гене



МПС симптомы

- Высокие уровни ГАГов в моче и крови
- Гепато- и спленомегалия
- Множественные дизостозы

Клеточный фенотип:

- Снижение уровня мутантного белка
- Повышение уровня ГАГов

Плюс симптомы

- Почечные нарушения
- Гематоэтические нарушения

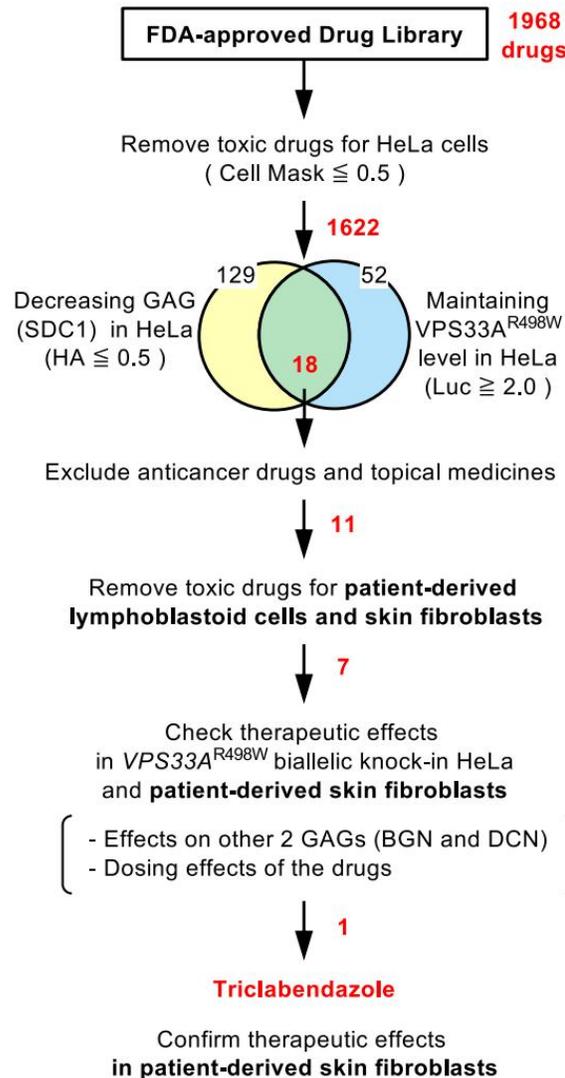
Актуальность:

- Патомеханизм не известен
- Специфическое лечение отсутствует

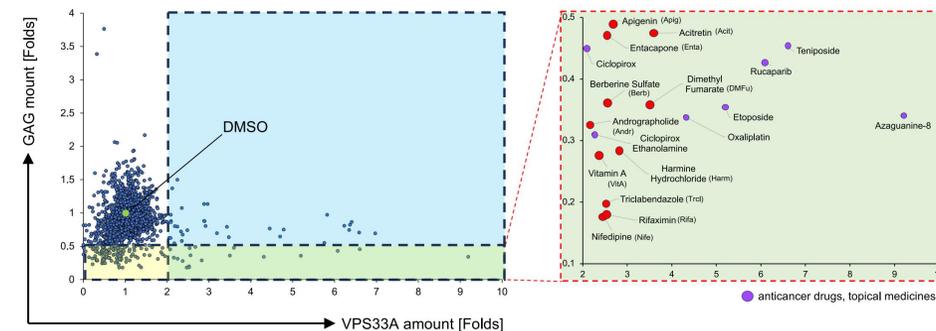
Цель:

- Провести скрининг FDA-одобренных лекарств для поиска патогенетического лечения МПСПС

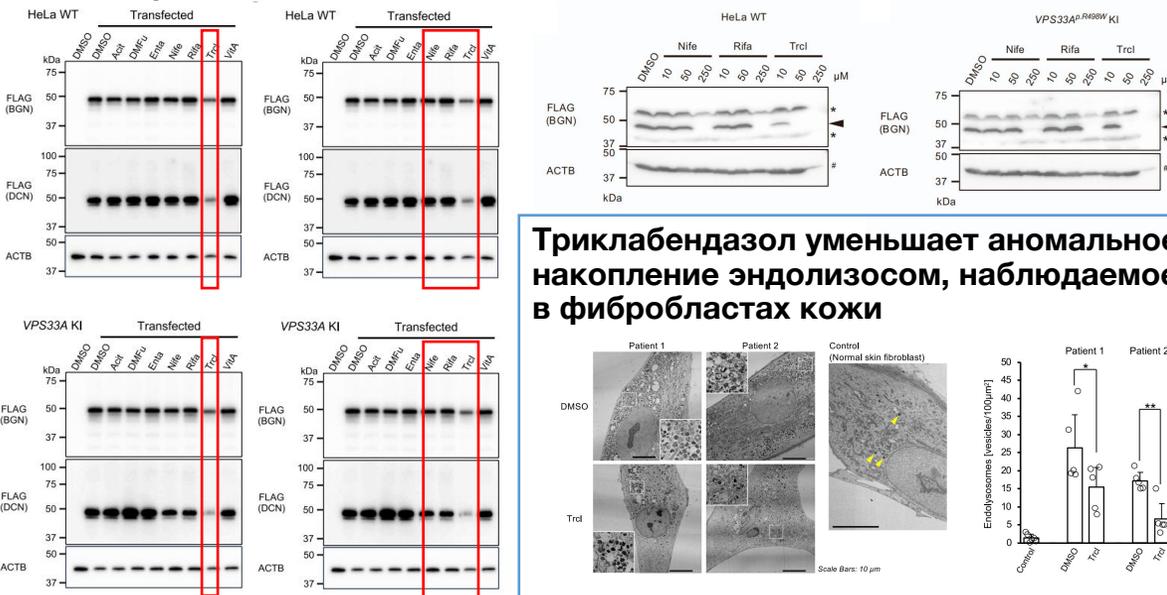
Схема рабочего процесса



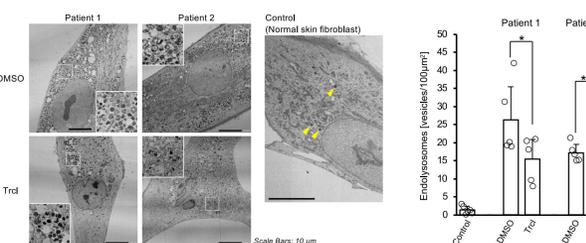
Лекарства, снижающие уровень ГАГ и увеличивающие уровень мутантного белка VPS33A



Триклабендазол подавляет уровни BGN и DCN в различных типах клеток при более низких дозах



Триклабендазол уменьшает anomальное накопление эндолизосом, наблюдаемое в фибробластах кожи



1, НИЛ "Молекулярная медицина и генетика человека" МИ СВФУ (Якутск, Россия)
2, Медицинский университет Кавасаки (Курашики, Япония)