



Gentherapie SynCav1 blijkt overleving in ALS-muismodel te verlengen

Experimentele therapie vertraagde ook het begin van de ziekte - ongeacht de onderliggende oorzaak

Behandeling met gentherapie kandidaat SynCav1 vertraagde het begin van de ziekte en verlengde overleving in een muismodel van amyotrofische laterale sclerose (ALS), volgens een nieuwe studie.

De experimentele therapie heeft tot doel de overleving van motorneuronen bij mensen met ALS te verbeteren, ongeacht de onderliggende oorzaak.

"Deze gegevens suggereren dat SynCav1 zou kunnen dienen als een nieuwe gentherapie voor neurodegeneratieve aandoeningen bij ALS en andere vormen van ziekte van het centrale zenuwstelsel met onbekende etiologie [oorzaak]", schreven de onderzoekers.

De studie, "Subpiale afgifte van adeno-geassocieerd virus 9-synapsin-caveolin-1 (AAV9-SynCav1) behoudt de morfologie van motorneuronen en neuromusculaire verbindingen, motorische functie, vertraagt het begin van de ziekte en verlengt de overleving bij hSOD1G93A-muizen", werd gepubliceerd in *Theranostics*.

Bron:

