

Bilaga 1 – Mall/Rubriker för den populärvetenskapliga sammanfattningen

Titel

Utveckling av läkemedel mot mitokondriella sjukdomar.

Sökord (key words, max 5)

Utveckling, läkemedel, mitokondrier

Syftet med försöket (enligt artikel 5 Direktiv 2010/63/EU)

Under de senaste tio åren har man funnit att ett stort antal sjukdomar beror på att cellens mitokondrier, kroppens energiproducenter, inte fungerar som de ska. De problem som kan uppstå i mitokondriens funktion kan vara primära eller sekundära. De primära sjukdomarna orsakas av en defekt i själva mitokondriens genuppsättning som styr energiproduktionen. Den vanligaste primära defekten ger upphov till Komplex I brist (t ex Leigh Syndrome and Friedreich Ataxia). Det är framför allt barn som drabbas och inte sällan avlider barnen i unga år. De sekundära defekterna orsakas av sjukdomar eller andra processer i kroppen, t ex skalltrauma, hjärtinfarkt, eller svåra infektioner. I de flesta fall förvärras den primära organskadan om även mitokondriernas energiproduktion hämmas. En ny grupp av läkemedel som förbättrar mitokondriernas funktion har nu tagits fram och ska testas på djur innan man kan påbörja kliniska prövningar. De framtagna substanserna bygger på en kroppsegen molekyl, och förväntas inte ge upphov till några allvarliga bieffekter i de planerade studierna.

Beskriv försökets mål (de vetenskapliga frågorna, eller de vetenskapliga, kliniska behoven som ska mötas)

Den kliniska målsättningen är att ge det nya läkemedlet till patienter med mitokondriella sjukdomar, t ex vid Komplex I brist, vid svåra infektioner eller vid olycka/trauma där energibehovet ökar och där den egna energiomsättningen inte räcker till för att upprätthålla viktiga funktioner. Det finns idag inga läkemedel tillgängliga för att behandla patienter med primära mitokondriella sjukdomar som insjuknar i svåra infektioner eller råkar ut för trauma som kräver sjukhusvård. Med denna behandling finns det förutsättningar att förkorta vårdtider och att rädda liv.

Vilka potentiella nyttor förväntas komma ur försöket (vilka vetenskapliga framsteg kommer att nås, hur kan människor eller djur dra nytta av försöket)?

Projektet kan komma att leda till att nya läkemedel finns tillgängliga för behandling av mitokondriella sjukdomar.

Vilka arter ska användas, och hur många djur?

Gris, 50 st

Vilka är de förväntade negativa effekterna på djuren och vilken är den förväntade svårhetsgraden?

Inga negativa effekter förväntas

3R-aspekter

1. Ersätta (Replace)

Beskriv varför djur måste användas och varför djurfria alternativ inte kan användas

Målsättningen med försöken kan inte uppnås utan användning av djur.

2. Begränsa (Reduce)

Förklara hur man har försäkrat sig om att använda så få djur som möjligt.

Så snart statistiskt säkerställda resultat är uppnådda kommer försöken att avbrytas.

3. Förfina (Refine)

Förklara valet av art och varför den valda djurmodellen är den mest förfina. Beskriv de insatser som gjorts för att minimera välfärdskostnaderna för djuren.

Valet står mellan hund och gris i detta försök. Gris har valts ur ett djurskyddsperspektiv.

Följande ska fyllas i av nämnden

Försöket ska utvärderas i efterhand Ja Nej

Eventuella tillägg eller ändringar som nämnden har beslutat

Diarienummer

2(8)



[Empty rectangular box]