



## **Populärvetenskaplig sammanfattning:**

Alzheimers sjukdom (AD) är en folksjukdom som orsakar successiv försämring av kognitiva funktioner. Sjukdomen skadar och dödar hjärnceller, vilket leder till att hjärnan krymper betydligt och signalsubstanserna kommer i obalans. En utmaning för dagens forskare är att ta fram nya effektiva behandlingar på ett så kostnadseffektivt sätt som möjligt mot vår vanligaste demenssjukdom. De läkemedel som används vid Alzheimers sjukdom är enbart symptomlindrande och alla är kolinesterashämmare, det vill säga de höjer nivån av acetylkolinet.

Nervtillväxtfaktor (NGF) är små proteiner som är betydelsefulla för celltillväxt, bibehållandet och överlevnaden av de kolinerga nervceller i framhjärnans basala delar och är viktiga för minnesfunktion och uppmärksamhet. Flera studier har visat på minskade nivåer av NGF i basala framhjärnan hos patienter med AD. Därför en behandling som bygger på NGF-tillförsel till de kolinerga nervceller ligger därför långt fram i forskningsfältet. Olika studier med målet att hitta nya administrationssätt av NGF till AD patienterna har utförts men utan någon framgång på grund av de biverkningar som patienterna upplever när NGF hamnar i blod cirkulationen vilket leder till smärta och viktnedgång.

För första gången har vi lyckats att använda implantat med NGF producerande celler i framhjärnan av totalt tio AD patienter. I vår första pilot studie rapporterade vi effekten av NGF behandling på de kolinerga biomarkörer i likvor från sex AD patienter som fick implantat med inkapslade NGF producerande celler i basala framhjärnan med så kallade stereotaktisk neurokirurgi, en metod man är först i världen om att genomföra. Resultaten visade en positiv effekt av NGF på de kolinerga biomarkörer och kognition. Våra resultat tyder på att behandlingen påverkar den kolinerga systemet, med förbättring av kognition som följd.

Nivåer av kolinerga biomarkörer i likvor och plasma ska analyseras i ytterligare fyra patienter som har fått en implantat med högre dos av NGF producerande celler under sex månader. Denna studien är fas 2b vilket är värdefullt för att se effekten av behandlingen på de viktiga biomarkörer och jämföra med våra observationer från första studien (för ex. förbättring av patienternas kognition). Med tanke på att det inte finns någon botande behandling för demens och de läkemedel som för närvarande används vid behandling har mycket begränsat terapeutiskt värde, ger fynden i studien oss nya insikter om Alzheimers sjukdom och detta kan leda till nya kunskaper som förbättrar livet för demenssjuka människor och deras närstående.