LS18-058 - Systems medicine analysis of sarcoidosis by targeting mTOR in a co-clinical trial in patients and mice

Zusammenfassung

Sarkoidose ist eine chronische Erkrankung unklarer Ursache, kann unterschiedliche Organe betreffen und ist derzeit nicht gezielt behandelbar. Wir konnten in einem Mausmodell für Sarkoidose zeigen, dass die Aktivierung eines Regulators unterschiedlicher zellulärer Prozesse ("mTOR") in speziellen Abwehrzellen eine Ursache für den fortschreitenden Krankheitsverlauf darstellt. Auf Basis dieser Beobachtungen untersuchen wir in dieser Studie die Wirksamkeit klinisch verfügbarer mTOR-Inhibitoren bei SarkoidosepatientInnen, was gleichzeitig in unserem Mausmodell für diese Erkrankung repliziert wird. Die Proben werden unter Zuhilfenahme neuester molekularbiologischer Methoden (omics, Einzelzell-Sequenzierung) im zeitlichen Verlauf untersucht, was uns erlaubt eine Spezies- und Patienten-übergreifend bioinformatische Analysen durchzuführen. Dadurch sollen die Pathophysiologie der Sarkoidose und Wirkmechanismen der mTOR-Blockade besser verstanden werden. Die wichtigsten Erkenntnisse und vielversprechendsten Therapieansätze werden in Mausmodellen sowie mit induzierbaren pluripotenten Stammzellen weiter getestet und dazu führen, Bedürfnisse von PatientInnen mit innovativen Ansätzen für zukünftige Studien zu verbinden.

Wissenschaftliche Disziplinen:
Immunology (50%) | Bioinformatics (30%) | Dermatology (20%)

Keywords:
sarcoidosis, granuloma formation, mTOR, macrophages, n-of-1 clinical trial

---

Principal Investigator:	Georg Stary
Institution:	Medical University of Vienna
Co-Principal Investigator(s):	Thomas Weichhart (Medical University of Vienna) Thomas Krausgruber (Austrian Academy of Sciences - CeMM Research Center for Molecular Medicine)

Status: Abgeschlossen (01.04.2019 - 31.03.2023)
GrantID: 10.47379/LS18058

Weiterführende Links zu den beteiligten Personen und zum Projekt finden Sie unter
https://wwtf.at/funding/programmes/ls/LS18-058/