

## **Bakgrund**

CADASIL är den vanligaste genetiska formen av stroke och vaskulär demens och leder till en långsam nedbrytning av glatta muskelceller, som ingår i kärlväggen på artärer i hjärnans blodomlopp och som är viktiga för att stabilisera kärlväggen. Sjukdomen orsakas av mutationer i Notch3-genen och drabbar 5-15 av 100 000 personer. Tyvärr finns idag ingen lindring eller bot att få för denna sjukdom.

## **Projektets syfte**

Syftet med projektet är att utveckla en principiellt helt ny behandlingsform och diagnostik för CADASIL. Som ett första steg vill vi undersöka möjligheten av att kunna aktivt vaccinera mot Notch3 proteinaggregaten i en musmodell som har CADASIL. I det andra steget vill vi generera antikroppar mot de toxiska proteinaggregaten för att använda som passiv immunisering. Vi vill på så sätt kunna skapa en möjlighet för att kärlsystemet återhämtar sig och även att detta helt kan hejda eller åtminstone kraftigt bromsa sjukdomsförloppet. Dessa antikroppar kommer vi att senare producera i stor skala för att kunna använda i kliniska studier på människa. Vidare vill vi utveckla en analysmetod som enklare och billigare kan diagnosticera personer samt även kunna följa sjukdomsprocessen och behandlings-effektiviteten.

## **Nytta med projektet**

Idag saknas bot och effektiv behandling för patienter som lider av CADASIL. I detta projekt vill vi dels utveckla en ny diagnostisk metod och dels testa en helt ny behandlingsstrategi för CADASIL, med målet att utveckla en terapi för sjukdomen. Ett positivt resultat från detta projekt skulle inte bara ge hopp till alla som drabbas av CADASIL, men också bana väg för vaccinbaserade behandlingar av andra sjukdomar som drabbar blodkärlen och dess funktion.