

[Akceptuje](#)

W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie Państwo dokonać w każdym czasie zmiany ustawień dotyczących cookies. Więcej szczegółów w naszej [Polityce Prywatności](#)

[Portal](#) [Informacje](#) [Katalog firm](#) [Praca](#) [Szkolenia](#) [Wydarzenia](#) [Porównania międzylaboratoryjne](#)
[Kontakt](#)



[Laboratoria](#)
[.net](#)
[Innowacje](#)
[Nauka](#)
[Technologie](#)



[Logowanie](#) [Rejestracja](#) [pl](#)

Newsletter

zapisz się

Naukowy styl życia

Nauka i biznes

- [Nowe technologie](#)
- [Felieton](#)
- [Tygodnik "Nature"](#)
- [Edukacja](#)
- [Artykuły](#)
- [Przemysł](#)

[Strona główna](#) > [Informacje](#)

Edytowanie genów pomaga leczyć zanik mięśni



Dwa niezależne zespoły badaczy amerykańskich wykorzystały z powodzeniem metodę edytowania genów do leczenia dystrofii mięśniowej Duchenne'a - informuje „Science”.

Specjaliści Duke University zastosowali tzw. edytowanie genów u dorosłej myszy z zanikiem mięśni Duchenne'a, powodowanym brakiem dystrofiny w mięśniach. Choroba ta najpierw atakuje mięśnie szkieletowe, a potem również mięsień sercowy, co doprowadza do zgonu. Większość chorych umiera przed 30. rokiem życia.

Główny autor tych eksperymentów, Chris Nelson twierdzi, że wprowadzenie prawidłowego genu przywracającego wytwarzanie w organizmie dystrofiny poprawiało stan mięśni gryzonia. Kiedy wstrzyknięto go do nóg, poprawiała się siła mięśni, a podanie do krwioobiegu wpływało korzystnie na pracę mięśnia sercowego oraz płuc.

Badacze użyli technikę edytowania genów Crispr/Cas9, która umożliwia precyzyjne zastępowanie wadliwych genów prawidłowym. Używa się w niej enzymu Cas9, który tnie wadliwy fragment DNA. Dokładnie wie, gdzie to zrobić, ponieważ przyczepiony jest do krótkiej nici RNA, która przyłącza się jedynie do określonej sekwencji genomu. W tym przypadku do tej, która ma być zmodyfikowana.

Jednocześnie do organizmu wprowadzany jest prawidłowy fragment DNA, z którego komórka korzysta, gdy naprawia cięcie wykonane przez Cas9 w miejscu, gdzie była wada genetyczna.

Nelson twierdzi, że stosowane dopiero od trzech lat edytowanie genów może być przydatne w leczeniu wielu schorzeń, takich jak mukowiscydoza czy choroba Huntingtona, jednak głównym wyzwaniem jest wprowadzenie genu dokładnie w to miejsce, gdzie jest on potrzebny.

Edytowanie genów w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a użyli także specjaliści Harvard University. Ich eksperyment polegał jednak na wprowadzeniu prawidłowego genu kodującego dystrofinę do komórek rozrodczych myszy. Dzięki temu 81 proc. potomstwa gryzoni chorych na to schorzenie urodziło się zdrowe, bez postępującego zaniku mięśni.

Źródło: www.naukawpolsce.pap.pl

<http://laboratoria.net/aktualnosci/24718.html>



07-11-2024

PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego

PCI Days - kluczowe wydarzenie dla przemysłu farmaceutycznego.



07-11-2024

Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy

Trzeba też jednak pamiętać o prostym i tanim badaniu.



07-11-2024

Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością

Po 40-tce zaczynamy spać coraz krócej i coraz płycej.



07-11-2024

[Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#)

Efekty prac mogą być przydatne.



07-11-2024

[Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#)

Warto rozmawiać z dziećmi na trudne tematy.



07-11-2024

[Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#)

Wykazało badanie z udziałem prawie 90 tys. osób.



07-11-2024

Test stania na jednej nodze dobrze określa stan zdrowia

Oraz ryzyko zgonu u osób 50+.



07-11-2024

Wirtualne zajęcia jogi skutecznym remedium na przewlekły ból pleców

Poinformowano w czasopiśmie „JAMA Network Open”.

Informacje dnia: [PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego](#) [Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy](#) [Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością](#) [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#) [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#) [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#) [PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego](#) [Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy](#) [Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością](#) [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#) [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#) [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#) [PCI Days 2025 - Targi dla Przemysłu Farmaceutycznego i Kosmetycznego](#) [Nie tylko szczepienia przeciw HPV ważne w prewencji raka szyjki macicy](#) [Jak skutecznie poradzić sobie z bezsennością](#) [Naukowcy stworzyli beton z dodatkiem wody słonej zamiast słodkiej](#) [Nie trzymajmy dzieci pod kloszem z tematem śmierci](#) [Dużo światła w nocy może prowadzić do przedwczesnej śmierci](#)

Partnerzy