

### [Akceptuję](#)

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](#)

## Terapia genowa zespołu Wiskotta-Aldricha



**Zespół Wiskotta-Aldricha (WAS) jest dziedziczną wadą układu odpornościowego, powodującą podatność na zakażenia i krwawienie. W badaniu europejskim prowadzono terapię genową (GT) w celu korekty wad wywołanych przez WAS.**

WAS jest rzadką chorobą genetyczną sprzężoną z chromosomem X, powodowaną przez mutacje w genie *was*. Jedynym obecnie dostępnym leczeniem jest allogeniczny przeszczep hematopoetycznych komórek macierzystych (HSC), lecz zgodnych dawców trudno jest znaleźć.

Opracowywana GT jest niezwykle obiecująca z racji postępów w modyfikowaniu genetycznym HSC. Przeprowadzono niedawno badanie kliniczne transferu genów w wektorze lentiwirusowym (LV) do autologicznych HSC CD34+ pobranych od chorych na WAS. Głównym celem finansowanego przez UE projektu WASHSCGENETHERAPY (Preclinical studies in mouse hematopoietic stem cells for gene therapy of Wiskott-Aldrich syndrome) było przeprowadzenie przedklinicznych badań na zwierzętach i udoskonalenie tej technologii GT, aby móc skutecznie stosować ją u pacjentów z WAS. Uczestnicy zamierzali przeanalizować obecnie stosowane w badaniach klinicznych LV oraz opracować metody dalszego udoskonalania LV.

Badacze opracowali LV trzeciej generacji i porównali ich działanie z LV stosowanymi w badaniach klinicznych. Wyniki projektu dowiodły, że po przeszczepie skorygowanych poprzez GT ludzkich HSC pozbawionym odporności myszom (nude) możliwe jest wykrycie ekspresji białka WAS u ich potomstwa. Te dane wskazują na odzyskanie zdolności do proliferacji komórek i wydzielania przez nie IL2 po stymulacji receptora CD3. Co istotne, badacze zaobserwowali tendencję do podwyższenia poziomu ludzkiego białka WAS w granulocytach i komórkach szpiku uzyskanych *in vitro* poprzez różnicowanie linii transdukowanych komórek ujemnych.

Te badania przedkliniczne prowadzone w ramach projektu umożliwiły wywnioskowanie, że udoskonalone LV trzeciej generacji z alternatywnym promotorem umożliwia transdukcję HSC oraz przybliżenie wielkości śledziona i liczby płytek krwi do normy. Na podstawie tych wyników możliwe będzie uzyskanie stabilnych linii komórkowych do terapii genowej chorych na WAS.

Źródło: [www.cordis.europa.eu](http://www.cordis.europa.eu)  
<http://laboratoria.net/aktualnosci/26375.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](#)

**Partnerzy**