

[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

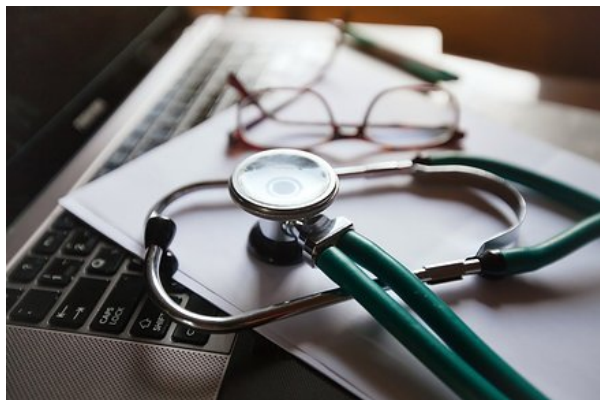
Naukowy styl życia

Nauka i biznes

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

[Strona główna](#) > [Informacje](#)

Innowacyjna terapia w leczeniu niedoborów odporności



Europejscy naukowcy opracowali innowacyjne rozwiązania terapeutyczne do leczenia pierwotnych niedoborów odporności (PNO). Te przełomowe leki powinny również przynieść korzyści kliniczne w terapii innych nieuleczalnych schorzeń.

PUN to rzadkie choroby dziedziczne układu odpornościowego, powodowane przez mutacje genów potrzebnych do rozwoju i czynności komórek odpornościowych. Chorzy są narażeni na infekcje, choroby autoimmunologiczne oraz nowotwory, a najczęstszą metodą leczenia jest przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych (HSC). Przy braku odpowiedniego dawcy przeszczep HSC ma ograniczone zastosowanie i często towarzyszą mu powikłania.

Produkty lecznicze terapii zaawansowanej (ATMP) oparte na autologicznych komórkach krwiotwórczych, modyfikowanych genetycznie *ex vivo* przy pomocy wektorów wirusowych, to substancje dające nadzieję na skuteczne leczenie PUN. Podczas pierwszych prac na autologicznych HSC o skorygowanych genach napotymano jednak na problemy dotyczące bezpieczeństwa, związane z pierwszą generacją wektorów retrowirusowych w pewnych typach PUN. Aby to zmienić, uczestnicy projektu [CELL-PID](#) (Advanced cell-based therapies for the treatment of primary immunodeficiency), finansowanego ze środków UE, postanowili opracować innowacyjne i bezpieczne ATMP do klinicznego leczenia pacjentów z PUN.

Uczeni z projektu CELL-PID pracowali nad nowymi metodami izolowania CELL z krwi, ich hodowli *in vitro* oraz wzbogacania o komórki progenitorowe limfocytów T. Szeroko zakrojone prace doprowadziły do wytworzenia wektorów wirusowych umożliwiających stabilną integrację konkretnych genów leczniczych z komórkami pacjenta. Przy pomocy innowacyjnych narzędzi technologicznych i urządzeń zespoły badawcze uzyskały wektory spełniające kryteria dobrej praktyki produkcyjnej oraz produkty lecznicze na bazie komórek. Ponadto przygotowano nowe strategie pozwalające na ponowną integrację lub zastąpienie grasicy, która często ulega zmianom u pacjentów z PUN.

W projekcie CELL-PID przeprowadzono również badania kliniczne dotyczące czterech schorzeń: zespołu SCID-X1, zespołu Wiskotta-Aldricha (WAS), ciężkiego złożonego niedoboru odporności w wyniku niedoboru deaminazy adenozykowej (SCID/ADA) oraz przewlekłej choroby ziarniniakowej (CGD). Zasadniczo, próby te potwierdziły trwałe wszczepienie komórek ze skorygowanymi genami, przywrócenie funkcji odpornościowej oraz ogólną poprawę stanu klinicznego pacjentów. O bezpieczeństwo nowej metody zadbano, przeprowadzając rygorystyczne i dokładne testy.

Innym ważnym osiągnięciem było przyczynienie się do dopuszczenia do obrotu na rynku UE pierwszego produktu terapii genowej na komórkach macierzystych *ex vivo*, przeznaczonego do leczenia chorób genetycznych. Dzięki współpracy z przemysłem, opatentowanym lekom sierocym oraz uzyskaniu środków z programu Horyzont 2020, partnerzy projektu wnieśli przyczynę do stworzenia europejskiej, obejmującej wiele ośrodków platformy na rzecz leczenia PUN.

Źródło: www.cordis.europa.eu

<http://laboratoria.net/aktualnosci/26948.html>



23-04-2025

NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie"

Z mW tym roku 10 wybranych projektów uzyska w sumie prawie 4,4 mln zł wsparcia.



23-04-2025

Misja z polskim astronautą

W maju na Międzynarodową Stację Kosmiczną może ona wystartować.



23-04-2025

Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach

Badania te podsumowano w komunikacie Wydziału Fizyki UW.



23-04-2025

[Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#)

Ponad 500 różnych wydarzeń.



23-04-2025

[Popularyzator astronomii](#)

Po prostu patrzmy w niebo



23-04-2025

[Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów...](#)

Informuje pismo „JAMA Internal Medicine”.



23-04-2025

[Wszechświat może się bardzo wolno obracać](#)

Twierdzą naukowcy z University of Hawaii w Manoa.



23-04-2025

[Weganom może brakować lizyny i leucyny](#)

Można je znaleźć m.in. w roślinach strączkowych, orzechach i nasionach.

Informacje dnia: [NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie" Misja z polskim astronautą](#) [Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach](#) [Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#) [Popularyzator astronomii](#) [Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów w USA](#) [NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie" Misja z polskim astronautą](#) [Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach](#) [Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#) [Popularyzator astronomii](#) [Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów w USA](#) [NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie" Misja z polskim astronautą](#) [Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach](#) [Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#) [Popularyzator astronomii](#) [Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów w USA](#)

Partnerzy