

[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

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



09-04-2026

Światło uwięzione w ultracienkiej siatce

Ten wynik otwiera drogę do nowych, płaskich elementów fonicznych.



09-04-2026

Przełom w leczeniu schorzeń układu ruchu

Będzie można regenerować kości i stawy



09-04-2026

WAT z nowymi pracowniami dla Instytutu Radioelektroniki

Otrzymał nowy budynek z pracowniami i aulą dla studentów.



09-04-2026

Ponowna analiza danych naukowych może przynieść zupełnie inne wyniki

Dwie trzecie z nich wyciąga inne wnioski.



09-04-2026

Antybiotykooporność jednym z największych zagrożeń zdrowia publicznego

Bakterie rozprzestrzeniają się nie tylko w szpitalach.



09-04-2026

Naukowcy pracują nad biosyntetycznym supermikrobiomem p

Przydatnym w leczeniu wielu schorzeń, jak choroby nowotworowe i autoimmunologiczne.



09-04-2026

[Bez podstawowej wiedzy o roślinach](#)

Wprowadzamy coraz więcej gatunków obcych inwazyjnych.



30-03-2026

[Stypendia ministra nauki za znaczące osiągnięcia](#)

Przyznał je 402 osobom.

Informacje dnia: [Światło uwięzione w ultracienkiej siatce Przełom w leczeniu schorzeń układu ruchu WAT z nowymi pracownikami dla Instytutu Radioelektroniki Ponowna analiza danych naukowych może przynieść zupełnie inne wyniki](#) [Antybiotykooporność jednym z największych zagrożeń zdrowia publicznego](#) [Naukowcy pracują nad biosyntetycznym supermikrobiomem p](#) [Światło uwięzione w ultracienkiej siatce Przełom w leczeniu schorzeń układu ruchu WAT z nowymi pracownikami dla Instytutu Radioelektroniki Ponowna analiza danych naukowych może przynieść zupełnie inne wyniki](#) [Antybiotykooporność jednym z największych zagrożeń zdrowia publicznego](#) [Naukowcy pracują nad biosyntetycznym supermikrobiomem p](#)

Partnerzy