

[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](#)

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

<https://laboratoria.net/aktualnosci/26375.html>



13-04-2026

Mity na temat epilepsji

Atak epilepsji nie zawsze przebiega tak samo.



13-04-2026

Marzec był drugim najcieplejszym miesiącem w Europie

Wynika z danych naukowców unijnego programu obserwacji Ziemi Copernicus.



13-04-2026

Sporadyczne picie dużych ilości alkoholu

Może trzykrotnie zwiększać ryzyko uszkodzenia wątroby.



13-04-2026

W nagłych przypadkach ChatGPT Health często uspokaja

Zamiast zalecać szukanie pomocy.



13-04-2026

Dieta bogata w warzywa i owoce zmniejsza ryzyko demencji nawet u...

Sugerują badania opublikowane przez pismo „Neurology”.



13-04-2026

Nie kompromitujcie nas, czyli jak chronić dane biometryczne

Naukowiec przewiduje, czy w przyszłości uda się utrudnić kradzieże.



13-04-2026

Ruszyła Akademia Energii Jądrowej

Pilotażowy program edukacyjny Polskich Elektrowni Jądrowych.



13-04-2026

Neurolog w Światowym Dniu Choroby Parkinsona

Chorych będzie coraz więcej

Informacje dnia: [Mity na temat epilepsji](#) [Marzec był drugim najcieplejszym miesiącem w Europie](#) [Sporadyczne picie dużych ilości alkoholu](#) [W nagłych przypadkach ChatGPT Health często uspokaja](#) [Dieta bogata w warzywa i owoce zmniejsza ryzyko demencji nawet u seniorów](#) [Nie kompromitujcie nas, czyli jak chronić dane biometryczne](#) [Mity na temat epilepsji](#) [Marzec był drugim najcieplejszym miesiącem w Europie](#) [Sporadyczne picie dużych ilości alkoholu](#) [W nagłych przypadkach ChatGPT Health często uspokaja](#) [Dieta bogata w warzywa i owoce zmniejsza ryzyko demencji nawet u seniorów](#) [Nie kompromitujcie nas, czyli jak chronić dane biometryczne](#) [Mity na temat epilepsji](#) [Marzec był drugim najcieplejszym miesiącem w Europie](#) [Sporadyczne picie dużych ilości alkoholu](#) [W nagłych przypadkach ChatGPT Health często uspokaja](#) [Dieta bogata w warzywa i owoce zmniejsza ryzyko demencji nawet u seniorów](#) [Nie kompromitujcie nas, czyli jak chronić dane biometryczne](#)

Partnerzy