

### [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](#)

## Kwas walproinowy zamiast terapii genowej

Wiele chorób ma podłoże genetyczne - ich przyczyną jest wadliwe działanie jednego lub kilku genów. Należą do nich na przykład mukowiscydoza czy płasawica Huntingtona.

Jak twierdzą niemieccy eksperci od terapii genowej, zamiast wymieniać wadliwy gen, można by pobudzić istniejące w komórkach mechanizmy naprawcze za pomocą odpowiedniego leku

i przynajmniej złagodzić objawy choroby.

Na razie badania dotyczyły stosunkowo często występującej choroby - rdzeniowego zaniku mięśni (SMA). Występuje ona u jednego na 6000 noworodków i należy do najczęstszych przyczyn zgonów w tej grupie wiekowej. Zwyródnienie neuronów ruchowych w rdzeniu kręgowym prowadzi do osłabienia mięśni i niedorozwoju tułowia oraz kończyn. Chorym brakuje genu SMN1 (kodującego białko zwane SMN), natomiast mają kopię genu SMN2. Jednak wytwarzają tylko około 10 procent właściwego białka, co nie wystarcza do powstrzymania rozwoju choroby. SMA przebiega tym ciężiej, im mniej kopii genu SMN2 występuje u dziecka (może być od jednej do czterech kopii).

Genetycy z uniwersytetu w Kolonii badali działanie leku zwanego kwasem walproinowym stosowanego jak dotąd w leczeniu padaczki (epilepsji). Okazało się, że kwas walproinowy może nawet czterokrotnie podnieść poziom brakującego białka we krwi i tkance mózgowej.

Najpierw przez cztery miesiące podawano lek rodzicom chorych dzieci, uzyskując podwyższenie poziomu białka SMN we krwi. Później kwas walproinowy podano dwudziestce chorych dzieci. U siedmiu podniósł się poziom białka we krwi. Nadal nie jest jasne, czy białko trafiło także tam, gdzie jest potrzebne - do komórek nerwowych rdzenia kręgowego.

Zanim ewentualnie kwas walproinowy zostanie zatwierdzony do leczenia rdzeniowego zaniku mięśniowego, niezbędne są dalsze badania.

[PAP](#)

**Skomentuj na forum**

<https://laboratoria.net/aktualnosci/4375.html>



29-05-2026

## **Susza/ Ulewne deszcze i fale upałów to dwie strony zmiany klimatu**

Wynika z danych IMGW-PIB.



29-05-2026

## Wypalenie rodzicielskie może być poprzedzone spadkiem ciekawości

Wykazało badanie Uniwersytetu SWPS.



29-05-2026

## Studenci z Wrocławia pracują nad komunikacją opartą na falach...

Czy możliwa jest komunikacja bez użycia głosu i ruchu?



29-05-2026

## Sztucznej inteligencji brakuje „iskry” i smaku badawczego

Są jeszcze miejsca, gdzie modele AI przegrywają w starciu z ludzkim intelektem.



29-05-2026

## Już za 3 tygodnie branża spotka się na PCI

## Days 2026

W dniach 16-18 czerwca 2026 r. w EXPO XXI Warszawa



21-05-2026

## Nowy wzór elektronicznej legitymacji studenckiej

Resort nauki udostępnił go.



21-05-2026

## Kleszcz to tylko pośrednik

Krętki Borrelia to częściowo „prezent” od gryzoni i ptaków.



21-05-2026

## Pod względem leczenia czerniaka Polska w czołówce Europy

W ciągu 8 lat przeżywalność pacjentów z tym nowotworem wzrosła o 20 proc.

**Informacje dnia:** [Susza/ Ulewne deszcze i fale upałów to dwie strony zmiany klimatu](#) [Wypalenie](#)

[rodzicielskie może być poprzedzone spadkiem ciekawości Studenci z Wrocławia pracują nad komunikacją opartą na falach mózgowych Sztucznej inteligencji brakuje „iskry” i smaku badawczego](#)  
[Już za 3 tygodnie branża spotka się na PCI Days 2026 Nowy wzór elektronicznej legitymacji studenckiej Susza/ Ulewne deszcze i fale upałów to dwie strony zmiany klimatu Wypalenie](#)  
[rodzicielskie może być poprzedzone spadkiem ciekawości Studenci z Wrocławia pracują nad komunikacją opartą na falach mózgowych Sztucznej inteligencji brakuje „iskry” i smaku badawczego](#)  
[Już za 3 tygodnie branża spotka się na PCI Days 2026 Nowy wzór elektronicznej legitymacji studenckiej Susza/ Ulewne deszcze i fale upałów to dwie strony zmiany klimatu Wypalenie](#)  
[rodzicielskie może być poprzedzone spadkiem ciekawości Studenci z Wrocławia pracują nad komunikacją opartą na falach mózgowych Sztucznej inteligencji brakuje „iskry” i smaku badawczego](#)  
[Już za 3 tygodnie branża spotka się na PCI Days 2026 Nowy wzór elektronicznej legitymacji studenckiej](#)

## **Partnerzy**