

[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. Zwrodnienie 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>



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