

### [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



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

[Strona główna](#) > [Nowe technologie](#)

## Terapia genowa w leczeniu złożonej choroby mózgu

Poczyniono znaczące postępy w opracowywaniu terapii pewnej konkretnej choroby mózgu, po części dzięki projektowi finansowanemu ze środków unijnych. Projekt X-ALD skoncentrował się na lepszym poznaniu patogenicznych mechanizmów prowadzących do "adrenoleukodystrofii sprzężonej z chromosomem X" - zaburzenia, które skutkuje nagromadzeniem długich łańcuchów kwasów tłuszczowych w tkankach całego organizmu, a zwłaszcza w ośrodkowym układzie nerwowym.



Co ważniejsze badania mogą otworzyć drogę do dalszych prac nad nowymi podejściami terapeutycznymi. Naukowcy odkryli na przykład, że X-ALD można leczyć łącząc terapię genową z terapią komórkami macierzystymi krwi.

*"Najważniejszym dorobkiem projektu jest pogłębienie wiedzy o mechanizmie molekularnym X-ALD" - wyjaśnia koordynator projektu Johannes Berger. "Mimo iż nadal nie w pełni poznaliśmy szczegóły mechanizmu, posunęliśmy się jednak zdecydowanie naprzód, co uwidacznia się w liczbie artykułów publikowanych w takich czasopismach jak Science czy Nature Medicine. Ponadto opracowana została nowa strategia leczenia pacjentów z zapalną postacią X-ALD, dla których nie ma dawcy przeszczepu".*

X-ALD to jedno z najczęstszych zaburzeń monogenetycznych dotyczących ośrodkowy układ nerwowy (OUN). W wyniku choroby osłonka mielinowa - warstwa ochronna okalająca nerwy - zostaje zniszczona, co prowadzi do problemów neurologicznych. Chorzy pozbawieni mieliny zapadają na schorzenia umysłowe i fizyczne wywoływane przez utratę funkcji nerwów.

Wszystkie postaci X-ALD charakteryzują się zaburzeniami neurologicznymi, które w najcięższych przypadkach mogą być śmiertelne. Wiadomo, że pod względem biochemicznym X-ALD charakteryzuje się nagromadzeniem kwasów tłuszczowych, ale rola tego nagromadzenia w patofizjologii choroby pozostaje tajemnicą. Jednak zespół projektu X-ALD poczynił znaczący postęp w identyfikacji kandydatów na geny modyfikatory, które mogą odpowiadać za zmienność fenotypową w rozwoju i charakterystyce X-ALD.

Gen, pozostający pod wpływem X-ALD, koduje białko, które prawdopodobnie bierze udział w transporcie bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych do określonych organelli wewnątrzkomórkowych, zwanych peroksysomami. Aby to sprawdzić, zespół opracował nowy system, w którym właściwości białka ALD można analizować w warunkach in vivo za pomocą drożdży piekarskich oraz w ramach systemu in vitro.

*"X-ALD to choroba rzadka i niewiele wiadomo na temat leżącego u jej podstaw mechanizmu molekularnego" - wyjaśnia profesor Berger. "Dzięki połączeniu sił ekspertów zajmujących się tym obszarem udało nam się osiągnąć istotny przełom w wiedzy o tej chorobie i otworzyć nowe ścieżki terapeutyczne znajdujące obecnie zastosowanie kliniczne".*

Jeżeli chodzi o terapię genową, to w ramach projektu, wykraczając poza jego pierwotny zakres, doprowadzono do pierwszego zastosowania klinicznego terapii genowej z X-ALD. Prace prowadzone w toku projektu mają wywrzeć największy wpływ na postępowanie terapeutyczne z chorymi na X-ALD w ciągu kolejnych 10 lat.

Profesor Berger jest przekonany, że ożywione dyskusje i regularne spotkania umożliwiły zespołowi koncentrację. *"Mogliśmy się nawzajem motywować do dalszych działań i to był główny powód sukcesu projektu" - zauważa. "Grupa nadal ze sobą współpracuje i koncentruje się na innych*

postaciach choroby, w przypadku których nadal brak dostępnych terapii".

Więcej informacji:

X-ALD

<http://www.x-ald.nl>

Źródło: [http://cordis.europa.eu/home\\_pl.html](http://cordis.europa.eu/home_pl.html)

<https://laboratoria.net/technologie/18192.html>

**Informacje dnia:** [Flexicon FPC50 w dydaktyce pracy laboratoryjnej](#) [Blisko 2,8 mln zł na badania nad terapią](#) [Studenci AGH zaprezentowali swój najnowszy bolid elektryczny](#) [Naukowcy sprawdzili, czy protony są wieczne](#) [Polska wśród krajów z najniższym poziomem stresu psychicznego](#) [Życie seksualne coraz częściej przenosi się do świata technologii](#) [Flexicon FPC50 w dydaktyce pracy laboratoryjnej](#) [Blisko 2,8 mln zł na badania nad terapią](#) [Studenci AGH zaprezentowali swój najnowszy bolid elektryczny](#) [Naukowcy sprawdzili, czy protony są wieczne](#) [Polska wśród krajów z najniższym poziomem stresu psychicznego](#) [Życie seksualne coraz częściej przenosi się do świata technologii](#)

**Partnerzy**