

### [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 tnę 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](http://www.naukawpolsce.pap.pl)

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



09-09-2024

## **Jak poradzić sobie z końcem wakacji?**

Dobrym sposobem jest opracowanie planu na „po urlopie”.



09-09-2024

## **Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne**

Wytyczne dotyczące mpox są adekwatne do obecnej sytuacji.



09-09-2024

## **Przydatność organów do przeszczepu**

Syntetyczna krew może istotnie wpłynąć na transplantologię.



09-09-2024

## **Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych**

Język ewoluuje w kontekście społecznym, a jego odmiany zawsze konkurują ze sobą.



09-09-2024

## **Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu**

Wykazują naukowcy w najnowszych badaniach.



09-09-2024

## Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet

Z 30-letnim wyprzedzeniem zwykłym testem krwi można je wykryć.



09-09-2024

## Galaktyki są dużo większe, niż sądzono

Galaktyka Andromedy już od dawna oddziałuje na Drogę Mleczną.



09-09-2024

## System inteligentnego zarządzania pojazdami nagrodzony przez...

Nagrodzony przez Siemens i PW.

**Informacje dnia:** [Jak poradzić sobie z końcem wakacji? Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne](#) [Przydatność organów do przeszczepu](#) [Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych](#) [Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu](#) [Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet](#) [Jak poradzić sobie z końcem wakacji? Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne](#) [Przydatność organów do przeszczepu](#) [Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych](#) [Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu](#) [Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet](#) [Jak poradzić sobie z końcem wakacji? Zalecenia w sprawie mpox są racjonalne i adekwatne](#) [Przydatność organów do przeszczepu](#) [Naukowcy zbadali, jak powstają nowe słowa w mediach społecznościowych](#) [Telefony komórkowe nie powodują nowotworów mózgu](#) [Ryzyko zawału i udaru mózgu u kobiet](#)

**Partnerzy**