

### [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](http://www.cordis.europa.eu)  
<http://laboratoria.net/aktualnosci/26375.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**