

### [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/aktualnosc/26375.html>



23-12-2024

**[Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego](#)**

## [Narodzenia](#)

Najserdeczniejsze życzenia zdrowych, radosnych i pogodnych Świąt Bożego Narodzenia.



23-12-2024

## [Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025!](#)

Odbędą się one w dniach 11-13 czerwca w Expo XXI w Warszawie.



23-12-2024

## [Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn](#)

Kobiety często nie czują typowych bólów co skutkuje gorszymi wynikami.



23-12-2024

## [Świąteczna apteczka](#)

Szczypta umiaru i coś na zgagę



23-12-2024

## [Radioaktywny pluton się nie ukryje](#)

Naukowcy znajdują go nawet na lodowcach



23-12-2024

## [Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14](#)

Wyłoniono autorów najlepszych prac licencjackich i inżynierskich.



23-12-2024

# Polacy są umiarkowanie prospołeczni

Polacy chcą wspierać materialnie.



23-12-2024

## Związek między traumą z dzieciństwa a zespołem jelita drażliwego

Pokazały badania polskich naukowców.

**Informacje dnia:** [Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025! Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn Świąteczna apteczka Radioaktywny pluton się nie ukryje Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14 Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025! Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn Świąteczna apteczka Radioaktywny pluton się nie ukryje Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14 Zdrowych i Pogodnych Świąt Bożego Narodzenia Zapraszamy na wyjątkową edycję Targów PCI Days 2025! Zawał już dawno przestał być chorobą mężczyzn Świąteczna apteczka Radioaktywny pluton się nie ukryje Złoty Medal Chemii przyznany po raz 14](#)

**Partnerzy**