

## [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](#)

# Innowacyjna terapia w leczeniu niedoborów odporności



**Europejscy naukowcy opracowali innowacyjne rozwiązania terapeutyczne do leczenia pierwotnych niedoborów odporności (PNO). Te przełomowe leki powinny również przynieść korzyści kliniczne w terapii innych nieuleczalnych schorzeń.**

PUN to rzadkie choroby dziedziczne układu odpornościowego, powodowane przez mutacje genów potrzebnych do rozwoju i czynności komórek odpornościowych. Chorzy są narażeni na infekcje, choroby autoimmunologiczne oraz nowotwory, a najczęstszą metodą leczenia jest przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych (HSC). Przy braku odpowiedniego dawcy przeszczep HSC ma ograniczone zastosowanie i często towarzyszą mu powikłania.

Produkty lecznicze terapii zaawansowanej (ATMP) oparte na autologicznych komórkach krwiotwórczych, modyfikowanych genetycznie *ex vivo* przy pomocy wektorów wirusowych, to substancje dające nadzieję na skuteczne leczenie PUN. Podczas pierwszych prac na autologicznych HSC o skorygowanych genach napotymano jednak na problemy dotyczące bezpieczeństwa, związane z pierwszą generacją wektorów retrowirusowych w pewnych typach PUN. Aby to zmienić, uczestnicy projektu [CELL-PID](#) (Advanced cell-based therapies for the treatment of primary immunodeficiency), finansowanego ze środków UE, postanowili opracować innowacyjne i bezpieczne ATMP do klinicznego leczenia pacjentów z PUN.

Uczeni z projektu CELL-PID pracowali nad nowymi metodami izolowania CELL z krwi, ich hodowli *in vitro* oraz wzbogacania o komórki progenitorowe limfocytów T. Szeroko zakrojone prace doprowadziły do wytworzenia wektorów wirusowych umożliwiających stabilną integrację konkretnych genów leczniczych z komórkami pacjenta. Przy pomocy innowacyjnych narzędzi technologicznych i urządzeń zespoły badawcze uzyskały wektory spełniające kryteria dobrej praktyki produkcyjnej oraz produkty lecznicze na bazie komórek. Ponadto przygotowano nowe strategie pozwalające na ponowną integrację lub zastąpienie grasicy, która często ulega zmianom u pacjentów z PUN.

W projekcie CELL-PID przeprowadzono również badania kliniczne dotyczące czterech schorzeń: zespołu SCID-X1, zespołu Wiskotta-Aldricha (WAS), ciężkiego złożonego niedoboru odporności w wyniku niedoboru deaminazy adenozykowej (SCID/ADA) oraz przewlekłej choroby ziarniniakowej (CGD). Zasadniczo, próby te potwierdziły trwałe wszczepienie komórek ze skorygowanymi genami, przywrócenie funkcji odpornościowej oraz ogólną poprawę stanu klinicznego pacjentów. O bezpieczeństwo nowej metody zadbano, przeprowadzając rygorystyczne i dokładne testy.

Innym ważnym osiągnięciem było przyczynienie się do dopuszczenia do obrotu na rynku UE pierwszego produktu terapii genowej na komórkach macierzystych *ex vivo*, przeznaczonego do leczenia chorób genetycznych. Dzięki współpracy z przemysłem, opatentowanym lekom sierocym oraz uzyskaniu środków z programu Horyzont 2020, partnerzy projektu wnieśli przyczynę do stworzenia europejskiej, obejmującej wiele ośrodków platformy na rzecz leczenia PUN.

Źródło: [www.cordis.europa.eu](http://www.cordis.europa.eu)

<http://laboratoria.net/aktualnosci/26948.html>



09-10-2024

## **Biologia przystosowała człowieka do przeżywania sytuacji stresowych**

Doświadczenie powodzi wiąże się z ogromnym stresem.



09-10-2024

## **Wiadomo, jak niektóre bakterie rozkładają plastik**

Odkrycie może pomóc w opracowaniu nowych metod.



09-10-2024

## **Sztuczna inteligencja badając oczy, oceni ryzyko chorób serca**

Ta metoda daje nadzieję na zmianę sposobu, w jaki zarządzamy chorobami.



09-10-2024

## **Szczepionka przeciwko wirusowi HPV**

WHO zaleca kolejną szczepionkę w jednej dawce



09-10-2024

## **Całe "okablowanie" mózgu muszki opisane**

A Polak ma publikację w "Nature", bo... grał w grę.



09-10-2024

# Dzięki pracy noblistów AI stała się jedną z najważniejszych...

Wyniki badań nad nią - przełomowe dla ludzkości.



09-10-2024

# Badania mikroRNA, ważne dla zrozumienia chorób

Nagrodzone medycznym Noblem.



09-10-2024

# Grzyby i ludzie mają wspólnego przodka

Rozmowa z mykolog dr hab. Martą Wrzosek.

**Informacje dnia:** [Biologia przystosowała człowieka do przeżywania sytuacji stresowych](#) [Wiadomo, jak niektóre bakterie rozkładają plastik](#) [Sztuczna inteligencja badając oczy, oceni ryzyko chorób serca](#) [Szczepionka przeciwko wirusowi HPV](#) [Całe "okablowanie" mózgu muszki opisane](#) [Dzięki pracy noblistów AI stała się jedną z najważniejszych technologii](#) [Biologia przystosowała człowieka do przeżywania sytuacji stresowych](#) [Wiadomo, jak niektóre bakterie rozkładają plastik](#) [Sztuczna inteligencja badając oczy, oceni ryzyko chorób serca](#) [Szczepionka przeciwko wirusowi HPV](#) [Całe "okablowanie" mózgu muszki opisane](#) [Dzięki pracy noblistów AI stała się jedną z najważniejszych technologii](#)

**Partnerzy**