

[Akceptuję](#)

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 w żelu dla "dzieci motyli"

Aplikowany na skórę żel zawierający wirusa dostarczającego do komórek DNA, pozwala leczyć pęcherzowe oddzielanie się naskórka (epidermolysis bullosa, EB), rzadką chorobę genetyczną, która prowadzi do powstawania na skórze pęcherzy i niegojących się ran - informuje „Nature Medicine“.

Choroby z grupy Epidermolysis bullosa są niezwykle rzadkie - występują mniej więcej u 2 osób na 100 000. Z powodu różnych mutacji nie są aktywne geny dla białek zapewniających skórze i wyściółce narządów wewnętrznych odpowiednią wytrzymałość. Już od urodzenia skóra chorych jest niezwykle delikatna - pod wpływem nawet niewielkiego urazu powstają pęcherze i bardzo trudno gojące się rany. Pęcherze pojawiają się zwłaszcza na łokciach, kolanach i w przelyku, dochodzi do uporczywych infekcji skóry, powstają blizny, pojawia się rak skóry. O dzieciach z tą chorobą mówi się "dzieci motyle" - ich skóra jest niemal tak wrażliwa, jak skrzydełka motyli, z których złuszcza drobniutkie łuski najlżejszy dotyk. Chorzy zwykle umierają jako młodzi dorośli.

Eksperymentalne metody leczenia obejmują przeszczepy skóry lub komórek macierzystych dostarczających białka, którego brakuje w danej postaci EB (chorobę mogą spowodować różne mutacje). Znany jest włoski przypadek z roku 2017: chłopcu, który stracił większość skóry uratowały życie wyhodowane w laboratorium arkusze komórek macierzystych. Jednak ta droga metoda jest niedostępna w większości krajów.

Opracowano kilka ekperymentalnych terapii genowych dla tej choroby, jednak najprostszą w stosowaniu jest użycie żelu zawierającego wirusa opryszczki, który wprowadza do komórek skóry odpowiedni gen. Taki żel rozprowadzany jest po skórze jak maść.

Małe badanie kliniczne dotyczyło pacjentów z recesywną dystroficzną EB (RDEB), którym brakowało białka skóry zwanego kolagenem VII. Zespół kierowany przez dermatologa ze Stanford University School of Medicine, Petera Marinkovicha opracował żel zawierający wirusa najlepiej znanego z wywoływania opryszczki. Został zmodyfikowany tak, aby zawierał gen kolagenu VII i nie mógł się replikować.

Jedną z zalet wirusa opryszczki jest to, że jego genom jest wystarczająco pojemny dla dużego genu kolagenu VII. Ponadto wirus ten wyewoluował, aby uniknąć wywołania skutecznej odpowiedzi ze strony układu odpornościowego człowieka - właśnie dlatego większość infekcji wirusem opryszczki nigdy nie ustępuje. Oznacza to, że w przeciwieństwie do większości wirusowych terapii genowych, pacjenci mogą otrzymywać wiele terapii wykorzystujących wirusa opryszczki.

Marinkovich i współpracownicy po raz pierwszy wykazali, że leczenie żelem pobudziło produkcję kolagenu VII w skórze pacjentów z RDEB i myszy z tą samą mutacją. W 2018 r. rozpoczęli badanie kliniczne finansowane przez firmę Krystal Biotech Inc. Na rany dziewięciu pacjentów, w tym trojga dzieci, naniesiono krople żelu, który następnie rozprowadzano bandażem. Pacjenci byli leczeni co 1 do 3 dni przez 25 dni.

We wszystkich przypadkach z wyjątkiem jednego, rany zagoiły się w ciągu 3 miesięcy po zakończeniu leczenia. Rana stopy jednego pacjenta w wieku 5 lat wymagała dwóch cykli leczenia, ale ostatecznie zagoiła się po 8 miesiącach. Dla porównania, rany leczone żelem placebo czasami goiły się, ale potem ponownie otwierały. Nie każda rana leczona nowym żelem w pełni się zagoiła, ale „wyniki są całkiem dobre” - wskazał Marinkovich.

Wektor wirusowy nie wnika głęboko w nienaruszoną skórę, więc nie może całkowicie zapobiec powstawaniu pęcherzy. A ponieważ kolagen VII ulega degradacji - a leczone komórki skóry w końcu złuszcza się - żel musi zostać ponownie nałożony. Mimo to, jak zaznaczył Marinkovich, terapia znacznie poprawia jakość życia pacjentów. Jego zespół planuje teraz przetestowanie żelu na innych typowych ranach u pacjentów z RDEB, w rogówce, przelyku i okolicy odbytu. Inni specjaliści sugerują, że stosowanie żelu z wirusami na małe rany można by łączyć z przeszczepami skóry bądź komórek macierzystych w przypadku większych zmian chorobowych.

Firma Krystal Biotech planuje w tym roku uzyskać zgodę organu regulacyjnego, testuje również dwie

podobne terapie genowe: żel dla pacjentów z rybią łuską, chorobą, która powoduje suchość, łuszczenie skóry i zastrzyk dla zdrowych, starszych osób, aby sprawdzić, czy dostarczenie genu kolagenu może wygładzić zmarszczki.

Źródło: pap.pl

<http://laboratoria.net/aktualnosci/31209.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