

### [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>



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**