

## Terapia minigenami

Amerykańscy badacze przeprowadzili na myszach udane próby leczenia dystrofii Duchenne'a nowego typu terapią genową, którą - być może - za kilka lat będzie można wykorzystać u ludzi.

Specjaliści z Uniwersytetu Pittsburgh przemyśli do mięśni gryzoni zmodyfikowane genetycznie wirusy zawierające dystrofinę - białko, którego brak lub niedobór powoduje dystrofię mięśniową. Posłużyli się adenowirusem - niegroźnym zarazkiem, coraz częściej wykorzystywanym przez genetyków w terapii genowej.

Udało się uzyskać ekspresję kodującego białko genu w 90% tkanek, w które został wprowadzony - twierdzi kierujący eksperymentem prof. Xiao na łamach "Proceedings of the National Academy of Sciences". Sukces ten może mieć przełomowe znaczenie w leczeniu różnych odmian chorób mięśni, jak też innych chorób wymagających użycia terapii genowej.

W próbach tych uczeni po raz pierwszy zastosowali skróconą wersję genu kodującego brakujące białko, ponieważ w całości był on zbyt duży, by można było pomieścić go w wirusach wykorzystywanych jako tzw. "genetyczne taksówki". Jest to jeden z najpoważniejszych problemów w rozwoju genoterapii. Niektórzy badacze wpadli nawet na pomysł, żeby takie większe fragmenty DNA przenosić w sztucznych chromosomach, co wcześniej udało się już przeprowadzić na myszach.

Alternatywnym rozwiązaniem jest skracanie genów, by mieściły się w zarazku, a zarazem zawierały sekwencję niezbędną do wytworzenia w komórce prawidłowo funkcjonującego białka. Takie "minigeny" były wystarczające do produkowania w mięśniach myszy brakującego w nich białka przez rok, tak długo, jak trwał eksperyment - twierdzi prof. Xiao. Można mieć zatem nadzieję, że metoda ta sprawdzi się też u ludzi, jednak przed rozpoczęciem badań klinicznych muszą być jeszcze wykonane podobne próby na większych zwierzętach.

Obiecujące są też badania, które na psach prowadzi Richard Barlett z Narodowego Instytutu Zdrowia w USA: wykorzystał w nich oligonukleotydy zawierające zarówno odpowiedni fragment DNA, jak RNA. Zostały one tak zaprojektowane, że bez pomocy wirusa potrafią wnikać w to miejsce genomu, gdzie występował wadliwy gen nie wytwarzający dystrofiny. Potwierdziły to badania poddanych terapii psów rasy golden retriever, które przez 11 miesięcy wytwarzały ją w prawidłowych ilościach.

*Źródło: artykuł Z. Wojtasińskiego,  
"Rzeczypospolita" z dn. 6.12.2000 r.*