USA zaaprobowały ingerencję w ludzkie geny

16 sierpnia 2018

Amerykańska agencja rządowa sprawująca nadzór nad jakością żywności i leków FDA po raz pierwszy zaakceptowała preparat przeznaczony do leczenia dziedzicznej amyloidozy hATTR spowodowanej mutacjami w genie transtyretyny – pisze portal „Science Alert".

Preparat patisiran blokuje syntezę zmutowanego białka transtyretyny, które w normalnej formie służy jako medium transportowe dla hormonu tarczycy tyroksyny i witaminy retinolu. Wadliwe białko sprzyja rozwojowi amyloidozy, choroby, która polega na gromadzeniu się w tkankach amyloidu – związku białkowo-polisacharydowego. Blaszki amyloidowe sprzyjają dysfunkcji tkanek i organów, w tym serca.

Mechanizm wyciszania aktywności transtyretyny opiera się na procesie interferencji RNA, kiedy to ekspresja tego czy innego genu jest wyciszana z pomocą cząsteczek krótkiego interferencyjnego RNA (siRNA). Proces ten zaczyna się od rozcinania długich molekuł obcego dwuniciowego RNA (należącego do wirusów) na oddzielne fragmenty. Te części wiązane są do kompleksu RISC, który następnie łączy się z komplementarnymi łańcuchami mRNA i aktywizuje jego rozcinanie. Tym samym udaremnia się proces transmisji i syntezy białka, który był zakodowany w mRNA.

Źródło: pl.SputnikNews.com