

Мышечная дистрофия Дюшенна-Беккера

nanoschematic

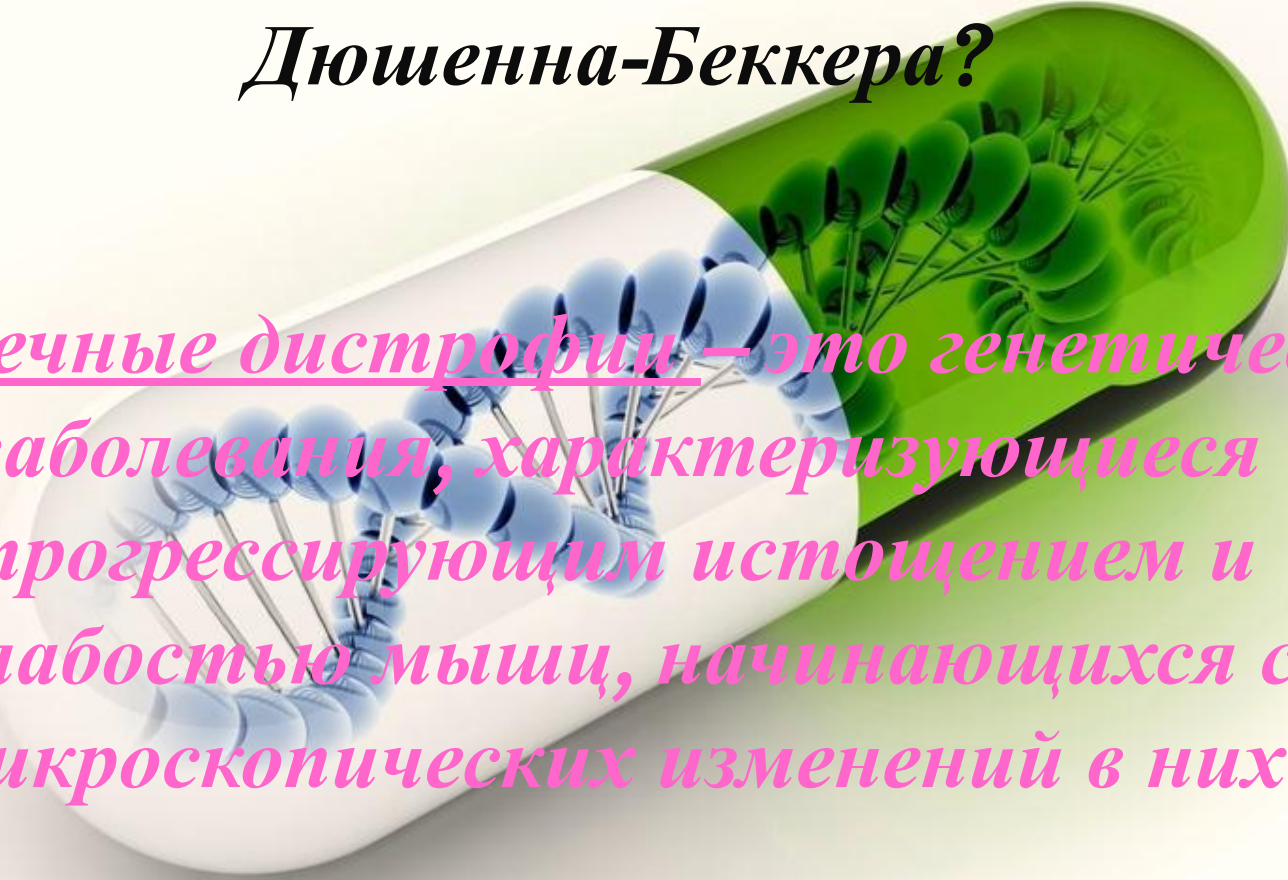
THE study is the first to report on the use of a gene therapy to treat Duchenne's muscular dystrophy (DMD) in a patient who has lost the ability to walk. The patient, who is now 17 years old, has performed this function as it has been reported that the gene therapy is able to restore the ability to walk in some patients with DMD. The study is a phase 1 trial and is the first to report on the use of a gene therapy to treat DMD in a patient who has lost the ability to walk. The patient, who is now 17 years old, has performed this function as it has been reported that the gene therapy is able to restore the ability to walk in some patients with DMD. The study is a phase 1 trial and is the first to report on the use of a gene therapy to treat DMD in a patient who has lost the ability to walk.

The study is a phase 1 trial and is the first to report on the use of a gene therapy to treat DMD in a patient who has lost the ability to walk. The patient, who is now 17 years old, has performed this function as it has been reported that the gene therapy is able to restore the ability to walk in some patients with DMD. The study is a phase 1 trial and is the first to report on the use of a gene therapy to treat DMD in a patient who has lost the ability to walk.

Small vertical text on the right side of the page, likely a page number or reference.

Что такое мышечная дистрофия Дюшенна-Беккера?

Мышечные дистрофии – это генетические заболевания, характеризующиеся прогрессирующим истощением и слабостью мышц, начинающихся с микроскопических изменений в них.



Это семейное?

МДД и МДБ наследуются по так называемому X-сцепленному типу. Это означает, что ген, мутация в котором и вызывает заболевание, расположен на X-хромосоме.

Каждый сын, рожденный женщиной с мутацией в гене дистрофина в одной из двух ее X-хромосом, имеет 50% вероятность унаследовать поврежденный ген и иметь МДД или МДБ. Каждая дочь такой женщины имеет 50% вероятность унаследовать мутацию и стать носительницей. У носительниц обычно нет симптомов заболевания, но у них могут быть дети с мутацией или заболеванием.

Так как же в семье, в которой не было случаев МДД или МДБ, вдруг рождается сын с этим заболеванием?

Генетическая мутация, приводящая к развитию МДД или МДБ, может присутствовать у женщины на протяжении нескольких поколений, и никто не будет об этом знать. Возможно, не рождались мальчики с заболеванием, или, если даже мальчик в ранних поколениях был болен, родственники могли не знать, что это была за болезнь.

Другое объяснение – это то, что ребенок с МДД или МДБ имеет новую генетическую мутацию, возникшую в процессе его внутриутробного развития. Как только у кого-нибудь появляется генетическое заболевание, даже если мутация – спонтанная (новая) у этого человека, он может передать его своему потомству.

Мужчины с МДД или МДБ не могут передать поврежденный ген своим сыновьям, поскольку передают им Y-хромосому, а не X. Но они безусловно могут передать его своим дочерям, поскольку каждая дочь получает от отца только X-хромосому. Они будут носительницами, и у каждого их сына будет 50% вероятность того, что у них будет это заболевание, и так далее.

Фото больных дистрофией

