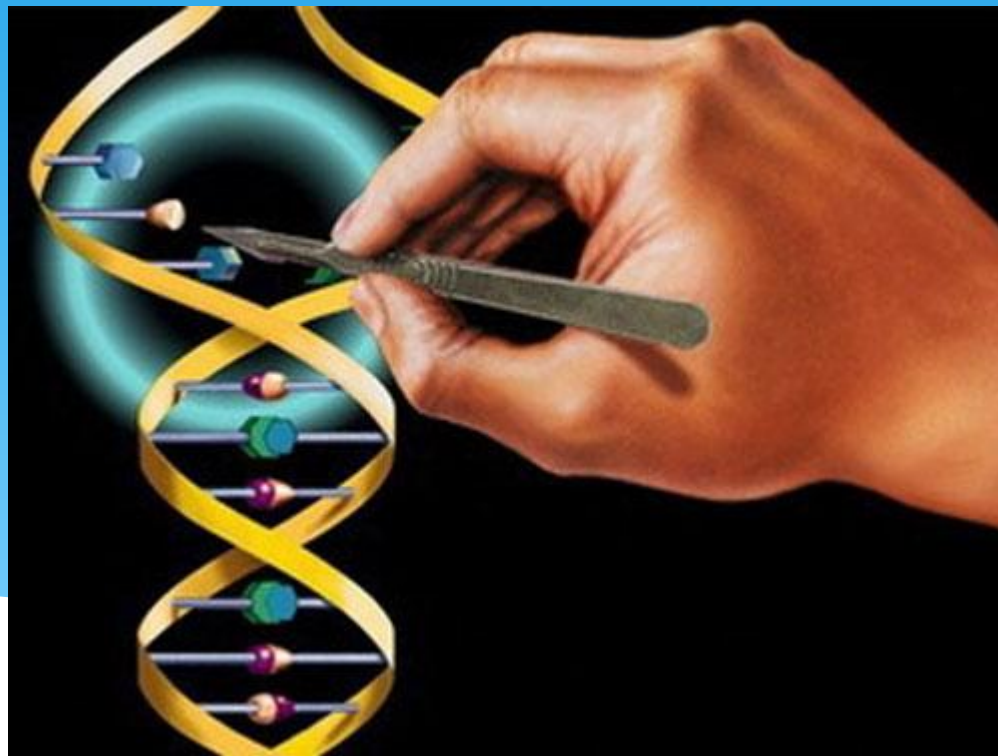
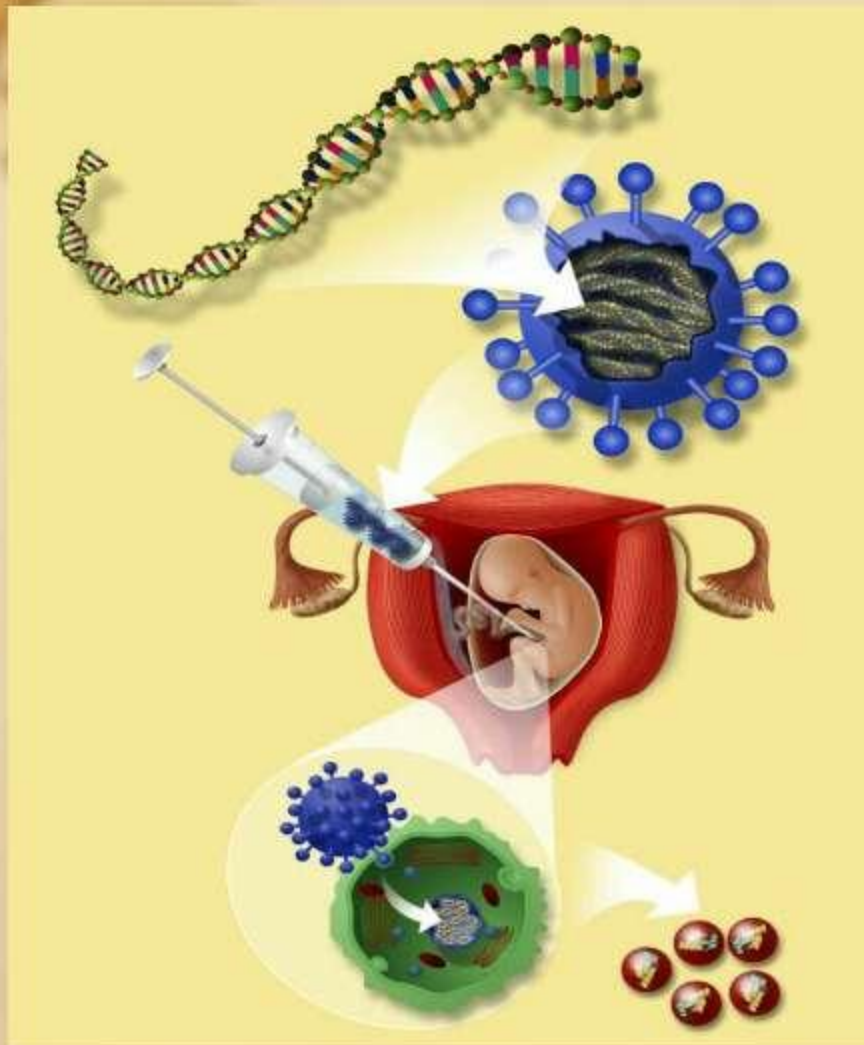


# Генная терапия



# Будущее генетики

## Генотерапия



Генотерапия (генная терапия) — совокупность генноинженерных (биотехнологических) и медицинских методов, направленных на внесение изменений в генетический аппарат соматических клеток человека в целях лечения заболевания. Это новая и бурно развивающаяся область, ориентированная на исправление дефектов, вызванных мутациями в структуре ДНК или придания клеткам новых функций.

# Определение

Генная терапия – это лечение наследственных, ненаследственных, мультифакториальных заболеваний, которое осуществляется путем введения в клетки пациента других генов. Целью терапии является устранение генных дефектов либо придание клеткам новых функций. Намного проще ввести в клетку здоровый, полноценно работающий ген, чем исправлять дефекты в имеющемся. Генная терапия ограничивается исследованиями в соматических тканях. Это связано с тем, что любое вмешательство в половые и зародышевые клетки может дать совершенно непредсказуемый результат.



# Болезни

Применяемая в настоящее время методика эффективна при лечении как моногенных, так и мультифакториальных заболеваний (злокачественные опухоли, некоторые виды тяжелых сердечно-сосудистых, вирусных заболеваний). Около 80% всех проектов генной терапии касаются ВИЧ-инфекции и онкологических заболеваний. В настоящее время ведутся исследования таких наследственных болезней, как гемофилия В, болезнь Гоше, муковисцидоз, гиперхолестеринемия.

# Лечение

Лечение генетических заболеваний подразумевает:

- выделение и размножение отдельных типов клеток пациента;
- введение чужеродных генов; • отбор клеток, в которых «прижился» чужеродный ген;
- вживление их больному (например, посредством переливания крови).

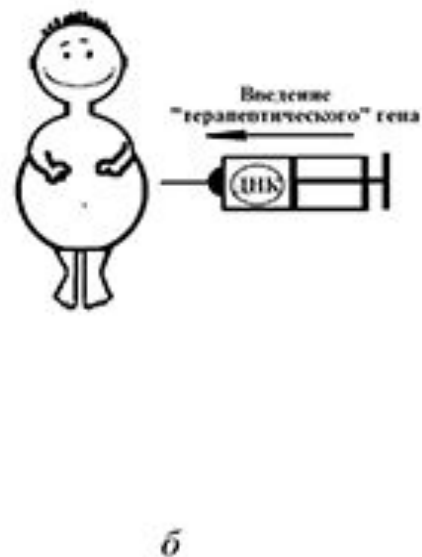
Генная терапия основывается на введении клонированных ДНК в ткани больного. Самыми эффективными методами при этом считаются инъекционные и аэрозольные вакцины.

# Два направления, в которых работает генная терапия

Генная терапия работает в двух направлениях:

1. Лечение моногенных заболеваний. К ним относятся нарушения в работе головного мозга, которые связаны с какими-либо повреждениями клеток, которые вырабатывают нейромедиаторы.
2. Лечение наследственных заболеваний. Основные подходы, используемые в данной области: генетическое усовершенствование иммунных клеток; повышение иммунореактивности опухоли; блок экспрессии онкогенов; защита здоровых клеток от химиотерапии; ввод генов-супрессоров опухоли; производство противоопухолевых веществ здоровыми клетками; продукция противоопухолевых вакцин; локальное воспроизведение нормальных тканей при помощи антиоксидантов.

# Схема проведения генной терапии



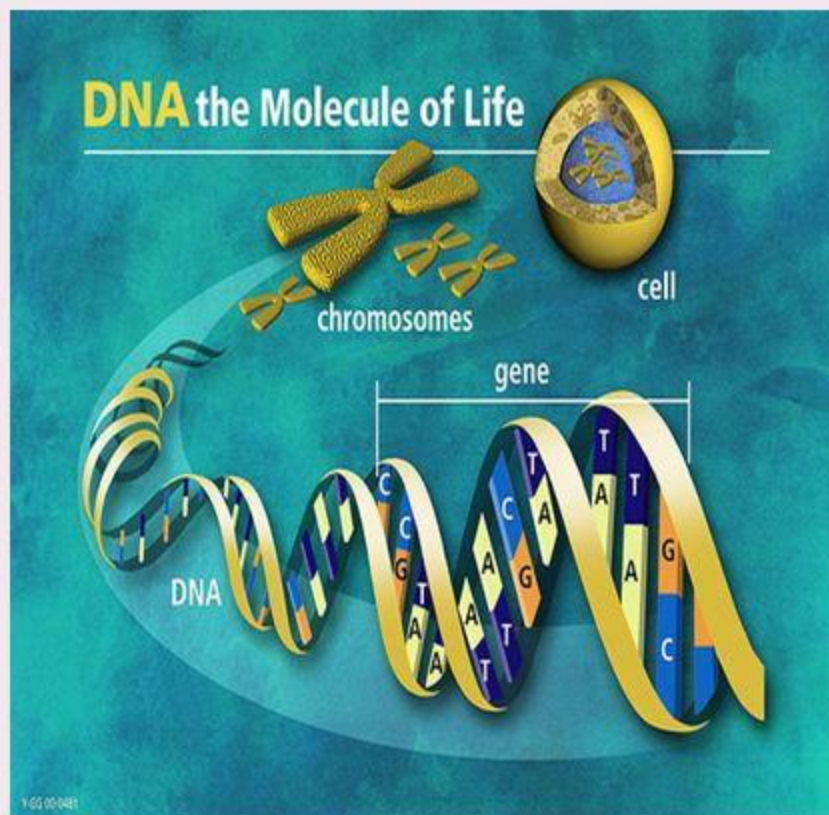
Использование генной терапии имеет много плюсов и в некоторых случаях является единственным шансом на нормальную жизнь для больных людей. Тем не менее, эта область науки до конца не изучена. Существует международный запрет на испытания на половых и доимплантационных зародышевых клетках. Это сделано с целью предотвращения нежелательных генных конструкций и мутаций. Основными проблемами, которые стоят перед генной терапией, помимо риска тяжелой иммунной реакции, являются трудности длительного хранения и функционирования терапевтической ДНК в организме пациента, мультигенность многих болезней, делающая их трудной мишенью для генной терапии, а также риск использования вирусов в качестве векторов.



Современная генотерапия направлена только на соматические, а не на половые (зародышевые) клетки.

- \* Генотерапия *ex vivo* (вне организма) означает, что нормальная копия гена вводится в соматические клетки, предварительно извлеченные из организма пациента. Исправленные клетки наращиваются и вводятся пациенту трансфузией или трансплантацией. При этом рекомендуется использовать клетки именно от этого больного и их "исправленное" потомство возвращать ему же, что снимает проблему отторжения клеток за счет врожденного иммунитета. Тем не менее использование только аутологичных клеток сужает возможность генотерапии, поэтому разработаны разные методы защиты от иммунного ответа и неаутологичных клеток, которые включают, в частности, применение иммуносупрессоров.
- \* При генотерапии *in vivo* доставка нормального гена осуществляется непосредственно в ткани человека (в клетки определенных тканей). При этом промотор гена должен быть трансспецифичен.

# Загляним в будущее



2010 год – генетическое тестирование, профилактические меры, снижающие риск заболеваний, и генная терапия до 25 наследственных заболеваний.

2020 год – на рынке появляются лекарства от диабета, гипертонии и других заболеваний, разработанные на основе геномной информации. Разрабатывается терапия рака.

2030 год – определение последовательности нуклеотидов всего генома отдельного индивида станет обычной процедурой, стоимость которой менее \$1000.

2040 год – Все общепринятые меры здравоохранения основаны на геномике.). Для многих заболеваний доступна генная терапия. Средняя продолжительность жизни достигнет 90 лет

**Стоимость - \$1000.  
в день- 1 геном  
человека**



*Спасибо за внимание!*