

Генная терапия *in vivo*

Выполнил :

Ст.Гр. РЭ-41

Тишук Александр

- В зависимости от способа введения экзогенных ДНК в геном пациента генная терапия может проводиться либо в культуре клеток (*ex vivo*), либо непосредственно в организме (*in vivo*).



- Генная терапия *in vivo* основана на прямом введении клонированных и определенным образом упакованных последовательностей ДНК в специфические ткани больного. Особенно перспективным для лечения генных болезней *in vivo* представляется введение генов с помощью аэрозольных или инъеклируемых вакцин.



Генная терапия *in vivo*

Терапевтический ген

Конструирование рекомбинантного вектора на базе аденовируса, адено-ассоциированного вируса, лентивируса или плазмиды



Генная терапия *ex vivo*

Терапевтический ген

Рекомбинант



Генетическая модификация клеток



Факторы роста



Размножение клеток *in vitro*

- Используя культуры клеток, можно разработать систему адресной доставки рекомбинантных ДНК, однако проверка надежности работы этой системы может быть осуществлена только на уровне целого организма. Поэтому такое внимание в программах по генной терапии уделяется экспериментам *in vivo* на естественных или искусственно полученных моделях соответствующих наследственных болезней у животных. Успешная коррекция генетических дефектов у таких животных и отсутствие нежелательных побочных эффектов генной терапии являются важнейшей предпосылкой для разрешения клинических испытаний.

- *in vivo* генная терапия это доставка генов прямо в организм, ничего из него не вынимая. Выбор стратегии определяется той медицинской задачей, которую решает генная терапия в каждом конкретном случае.



СПАСИБО ЗА ВНИМАНИЕ!