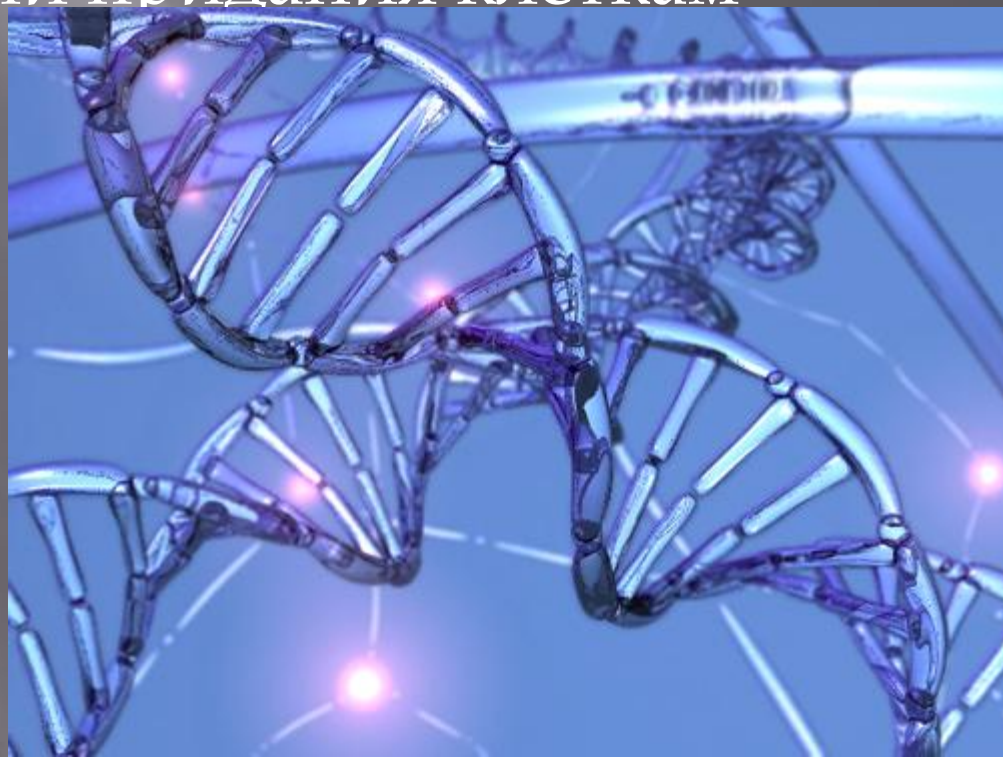


Генная терапия



Выполнила:
Студентка 113 группы
Литвякова Е.С.

- Генную терапию на современном этапе можно определить как лечение наследственных, мультифакториальных и ненаследственных (инфекционных) заболеваний путем введения генов в клетки пациентов с целью направленного изменения генных дефектов или придания клеткам новых функций.



2002 год и ранее



Создается направление в генотерапии, позволяющее восстанавливать ошибки в информационной РНК, соответствующей дефектному гену. Разрабатываются методики, позволяющие применять новый подход для лечения некоторых видов рака.

Успешное лечение серповидно-клеточной анемии у мышей.

1989 год. Опыты по перенесению клонированных генов человека в человеческие клетки.

2003 год



удалось перенести гены в нейроны головного мозга На основе новой технологии разрабатываются методы генной терапии болезни Паркинсона.


Разрабатываются методы лечения синдрома Хантингтона.

2006 год



Первая демонстрация эффективной борьбы с раком с использованием генной терапии.

2008 год



В декабре 2008 года успешно завершились испытания на мышах терапии серповидно-клеточной анемии

2009 год

```
graph TD; A([2009 год]) --> B[Генотерапия успешно применена для улучшения состояния больных ВИЧ]; B --> C([2011 год]); C --> D[Пациент, проходивший лечение в 2007 и 2008 годах был излечен от ВИЧ методом повторной трансплантации стволовых клеток];
```

Генотерапия успешно применена для улучшения состояния больных ВИЧ

2011 год

Пациент, проходивший лечение в 2007 и 2008 годах был излечен от ВИЧ методом повторной трансплантации стволовых клеток

Заболевания, которые можно вылечить с помощью генной терапии

Иммунодефицит



Гемофилия В



Геннол

Гемофилия А



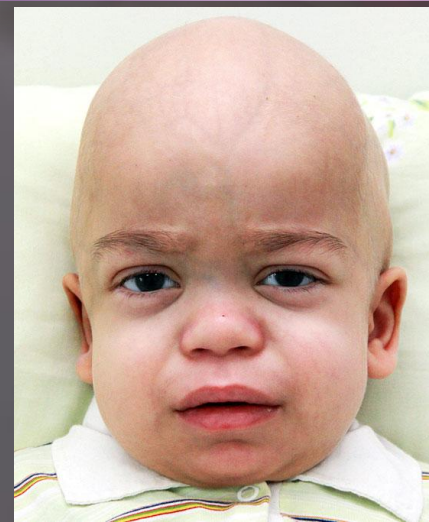
Болезнь Хантера



Болезнь Гоше (сфинголипидоз)



Синдром Гурлера



Эмфизема легких



Фенилкетонурия



Муковисцидоз



Талассемия



Серповидноклеточная анемия



Болезнь Паркинсона



Болезнь Альцгеймера



Синдром Леш-Нихана



- ▣ Генотерапию можно также разделить на три группы — исходя из опасностей, которые она несет.

Первая группа — опасности вмешательства в генетически аппарат последующих поколений, и как результат — изменение природы человека.

Вторая группа — опасности соматической генотерапии, о которой я только что говорил, те случаи, когда нет вмешательства в потомство.

третья группа — несколько, быть может, эфемерная опасность, присущая вообще любым генноинженерным манипуляциям. Я имею в виду окружающих людей.

- Главные проблемы связаны с генной терапией половых клеток, так как в результате можно вмешаться в геном будущих поколений, изменить их наследственность, и даже, выражаясь несколько высокопарно, вмешаться в геном человечества.



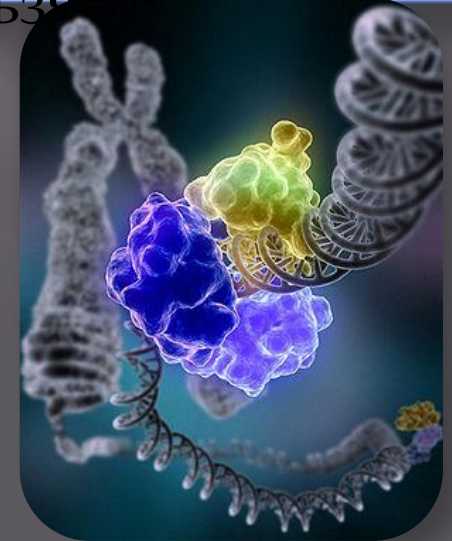
- До сих пор все конвенции по этому поводу провозглашают, что такое вмешательство недопустимо. Приводятся некоторые суммированные аргументы против такого вмешательства. Например, человек имеет право на естественный неизменный геном. Это одна из сторон его права на сохранение человеческого достоинства. Затем, врач или биолог-исследователь не должен присваивать себе право Бога и вмешиваться в наследственность. Необходимо постоянно проявлять озабоченность судьбой будущих поколений. И наконец, вмешательство недопустимо потому, что невозможно отделить генную терапию половых клеток, то есть исправление генетических дефектов от евгеники, то есть от попыток “улучшения” человеческого рода.



- Вот цитата из “Конвенции о правах человека и биомедицине” Совета Европы: “Вмешательство в геном человека, направленное на его модификацию, может быть осуществлено только в профилактических, терапевтических или диагностических целях и только при условии, что подобное вмешательство не направлено на изменение генома потомства”



- В случае соматической генной терапии речь идет о введении генов больному человеку для его излечения. Считается, что при этом никакого вмешательства в геном половых клеток и в геном будущих поколений не происходит. Какие здесь потенциальные опасности? Можно предположить неконтролируемое встраивание вектор-ДНК последовательностей в геном и в конце концов злокачественную трансформацию клеток организма. В принципе такое возможно, но прямых доказательств нет. Дальше.
- Если лечится молодой человек, то при введении генетических конструкций они в конце концов могут попасть и в его половые клетки, значит, все-таки произойдет вмешательство в геном будущих поколений. Опять-таки отрицать такую ситуацию нельзя, но вероятность ее, по-видимому, невысока.

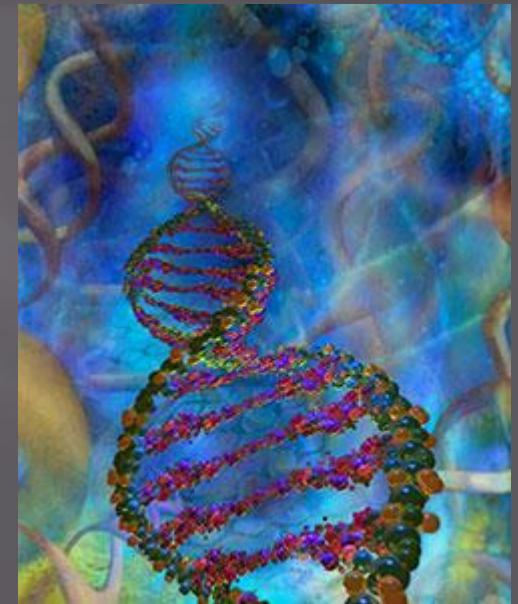


НЕКОТОРЫЕ ЭТИЧЕСКИЕ И СОЦИАЛЬНЫЕ ПРОБЛЕМЫ ГЕННОЙ ТЕРАПИИ

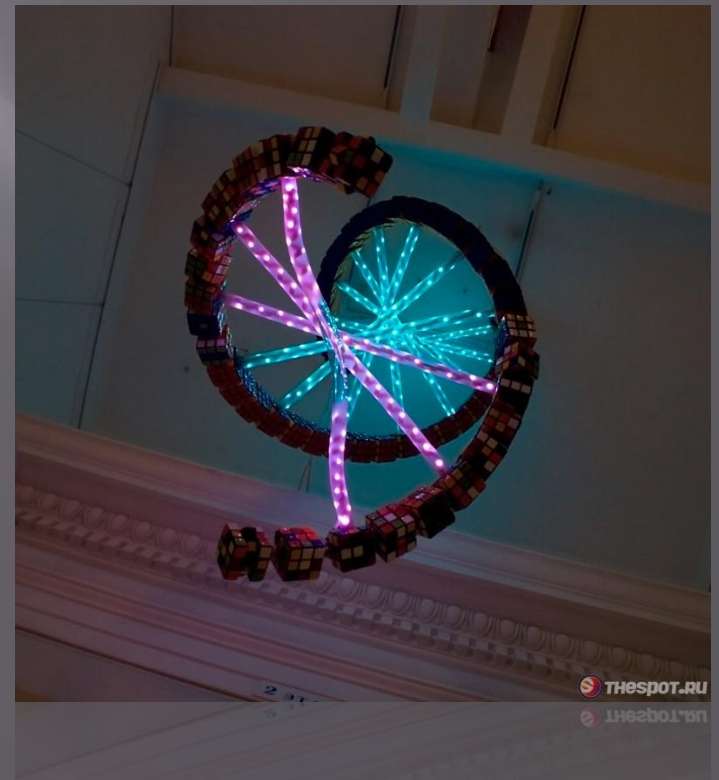
Появление принципиально новых технологий, позволяющих активно манипулировать с генами и их фрагментами и обеспечивающих адресную доставку новых блоков генетической информации в заданные участки генома, стало важным событием в биологии и медицине.

- Уже сейчас на современном уровне знаний о геноме человека теоретически вполне возможны такие его модификации с целью улучшения некоторых физических (например, рост), психических и интеллектуальных параметров.

- Таким образом, современная наука о человеке на своем новом витке развития вернулась к идее улучшения человеческой породы, грядущее всевластие человека над собственным геномом заставляет вновь и вновь возвращаться к этой теме, делает ее предметом постоянных оживленных дискуссий в широкой и научной печати. Не вызывает сомнения, что первоначальные опасения, связанные с генной инженерией человека, были неоправданны. Уже признано целесообразным применение генной терапии для лечения многих заболеваний. Единственным и неременным ограничением, сохраняющим свою силу и в современных условиях, является то, что все генотерапевтические мероприятия должны быть направлены только на конкретного больного и касаться исключительно его соматических клеток.



- Современный уровень знаний не позволяет проводить коррекцию генных дефектов на уровне половых клеток и клеток ранних доимплантационных зародышей человека в связи с реальной опасностью засорения генофонда нежелательными искусственными генными конструкциями или внесением мутаций с непредсказуемыми последствиями для будущего человечества.



- Помните, что конечно генная терапия это очень здорово. Но она еще далека от широкого практического использования. Пока основные успехи достигнуты на моделях.
- Но человек это не просто большая мышь накапливается много примеров разных откликов человека и экспериментальных животных на одну и ту же обработку. Отклонения могут быть, как в сторону, благоприятную для человека, так и наоборот. .

