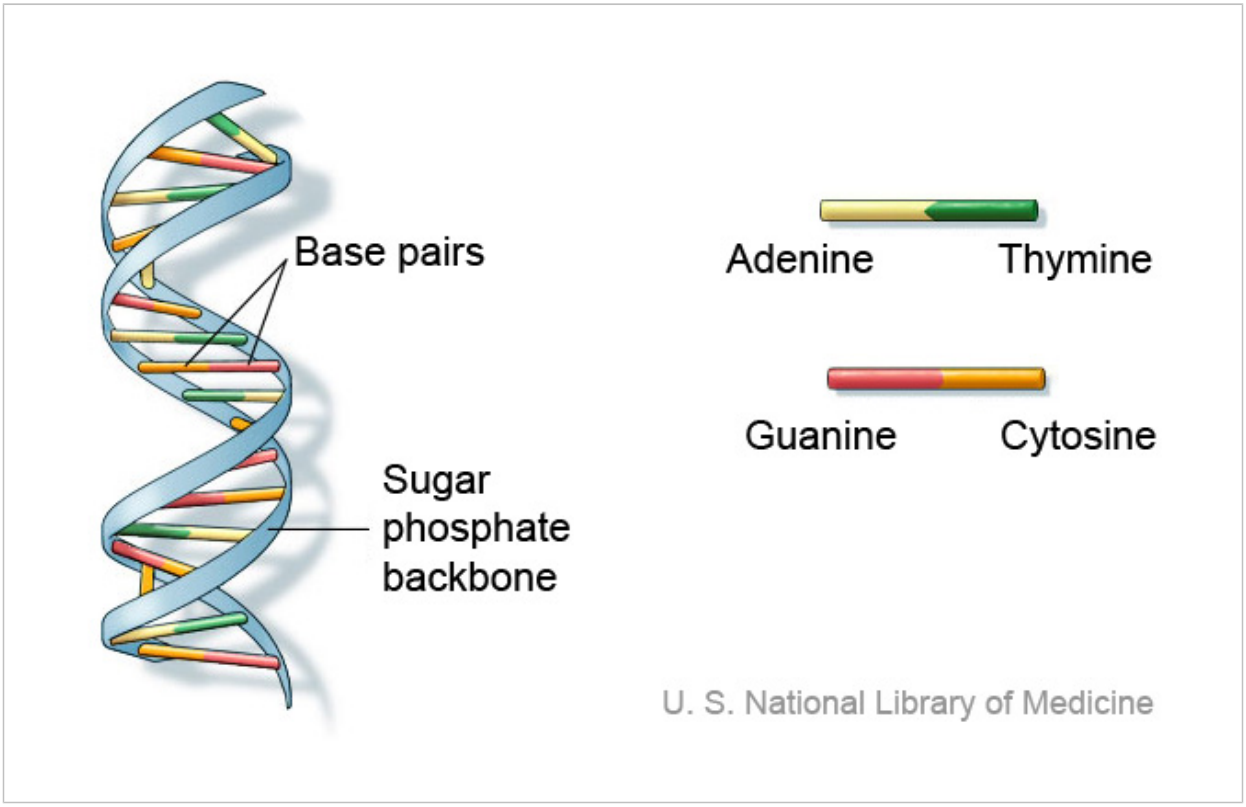
# Γονιδιακή θεραπεία

Η γονιδιακή θεραπεία είναι ένας τρόπος αποκατάστασης της λειτουργίας των κυττάρων στα οποία τα γονίδια λείπουν ή δεν λειτουργούν σωστά. Τα γονίδια περιέχουν όλες τις πληροφορίες για τη δημιουργία και τη διατήρηση των κυττάρων και κωδικοποιούνται από το δεοξυριβονουκλεϊκό οξύ (DNA). Ο πυρήνας κάθε κυττάρου περιέχει είκοσι τρία ζεύγη χρωμοσωμάτων, στα οποία βρίσκονται χιλιάδες γονίδια. Ορισμένες ασθένειες προκαλούνται από μικρές αλλαγές στο DNA των γονιδίων μας, γνωστές ως γενετικές παραλλαγές. Οι παραλλαγές συμβαίνουν όταν οι πληροφορίες που κωδικοποιούνται από τα γονίδιά μας αντιγράφονται εσφαλμένα και αυτό μπορεί να οδηγήσει στην παραγωγή ελαττωματικών πρωτεϊνών που προκαλούν ασθένειες. Η γονιδιακή θεραπεία χρησιμοποιείται για να διορθώσει το πρόβλημα στην πηγή. Αυτό σημαίνει ότι οι άρρωστοι ιστοί και τα όργανα μπορούν στη συνέχεια να λειτουργήσουν σωστά.




Η γονιδιακή θεραπεία είναι μια πειραματική σε μεγάλο βαθμό

τεχνική η οποία έχει δείξει πολλά υποσχόμενα αποτελέσματα σε ορισμένες κλινικές δοκιμές σε ανθρώπους για ασθένειες όπως οι ανοσοανεπάρκειες (όπου το ανοσοποιητικό σύστημα δεν λειτουργεί σωστά), η μυϊκή δυστροφία (προοδευτική απώλεια σκελετικών μυών) και η αναιμία (μείωση του αριθμού ή της λειτουργίας των ερυθρών αιμοσφαιρίων). Από το 1990 έχουν πραγματοποιηθεί πάνω από 1700 κλινικές δοκιμές παγκοσμίως.

Η προσέγγιση της γονιδιακής θεραπείας είναι χρήσιμη για ασθένειες στις οποίες προσβάλλεται ένα μόνο γονίδιο, είτε από μία μόνο παραλλαγή είτε από πολλαπλές παραλλαγές στο ίδιο γονίδιο. Σε ασθένειες που περιλαμβάνουν πολλαπλά γονίδια, η προσέγγιση αυτή είναι πολύ πιο περίπλοκη και είναι απίθανο να λειτουργήσει.

# Περαιτέρω πόροι


- European Society of Gene and Cell Therapy. (2011, 29 Οκτωβρίου).*Introduction to Gene Therapy*. Ανακτήθηκε στις 4 Ιουλίου 2021, από την διεύθυνσηhttps://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx


# Παραπομπές:


1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Ανακτήθηκε στις 17 Ιουνίου 2015, από την διεύθυνση http://ghr.nlm.nih.gov/


A2-1.06.6V1.1