

# Генная терапия

Генная терапия – это способ восстановления функционирования клеток, в которых некоторые гены отсутствуют или неправильно работают. Гены закодированы в дезоксирибонуклеиновой кислоте (ДНК) и содержат всю информацию, необходимую для строительства и жизнедеятельности клеток. Ядро каждой клетки содержит двадцать три пары хромосом, в которых находятся тысячи генов. Причиной ряда заболеваний являются незначительные изменения в ДНК наших генов, известные как генетические вариации. Эти вариации возникают при неправильном копировании информации, закодированной в генах, в результате чего образуются неполноценные белки, которые вызывают заболевания. Генная терапия используется для устранения первопричины заболевания. Это позволяет тканям и органам, поврежденным болезнью, начать правильно функционировать.



Структура ДНК напоминает винтовую лестницу. Ее ступеньками являются азотистые основания нуклеотидов. Адениннуклеотид состоит в паре с тиминном, а цитозин – с гуанином. Нуклеотидные пары оснований связаны между собой

сахарофосфатным остовом. (Источник: Национальная медицинская библиотека США, см. источник №1).

Генная терапия представляет собой экспериментальный метод лечения, который зарекомендовал себя в ряде клинических исследований пациентов с болезнями, связанными с иммунодефицитом (при которых нарушена работа иммунной системы человека), мышечной дистрофией (прогрессирующая потеря скелетной мускулатуры) и анемией (сокращение количества или функционирования красных кровяных телец). В период с 1990 года по всему миру проведено более 1700 клинических исследований.

Методы генной терапии применимы в случаях, когда заболевание связано одним или несколькими изменениями только в одном из генов. Если заболевание связано с изменениями в нескольких генах, использовать методы генной терапии становится гораздо сложнее, при этом успешный результат маловероятен.

## Дополнительные источники

- European Society of Gene and Cell Therapy. (29 октября 2011 г.). *Introduction to Gene Therapy*. Источник по состоянию на 17 июня 2015 г.: <https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx>

## Справочная литература

1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Retrieved June 17, 2015, from <http://ghr.nlm.nih.gov/>

A2-1.06.6V1.1