遺伝子治療

遺伝子治療は、遺伝子が失われているか、または適切に機能していない細胞の機能を修復する手法の 1 つです。遺伝子は、細胞を作り維持するすべての情報を含み、デオキシリボ核酸 (DNA) によってコード化されています。すべての細胞の核には 23 対の染色体が入っていて、そこに数千の遺伝子が配置されています。特定の疾患は、遺伝的変異として知られる、遺伝子の DNA のわずかな変化により引き起こされます。遺伝子によってコード化された情報が誤って複製されると変異が生じ、これにより、疾患の原因となる欠陥タンパク質が生成される場合があります。遺伝子治療は問題を根本から解決するために利用されています。言い換えると、この治療を施せば、疾患のある組織や臓器は正常に機能することができます。

遺伝子治療は非常に実験的な技術で、免疫不全 (免疫系が正常に機能しない)、筋ジストロフィー (骨格筋の進行性萎縮)、貧血 (赤血球の数または機能の減少) などの疾患に関してはヒトにおける一部の臨床試験で有望視されています。1990 年以降、1700 件以上の臨床試験が世界で行われてきました。

遺伝子治療の手法は、単独の遺伝子がその遺伝子の単独の変種または複数の変種によって影響を受けるような疾患には有効です。複数の遺伝子が関連する疾患においては、この手法ははるかに複雑なものとなり、効果的でない可能性があります。

追加資料

European Society of Gene and Cell Therapy.(2011, October

29).*Introduction to Gene Therapy*.Retrieved 4 July ,2021 from https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx

□□□□

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