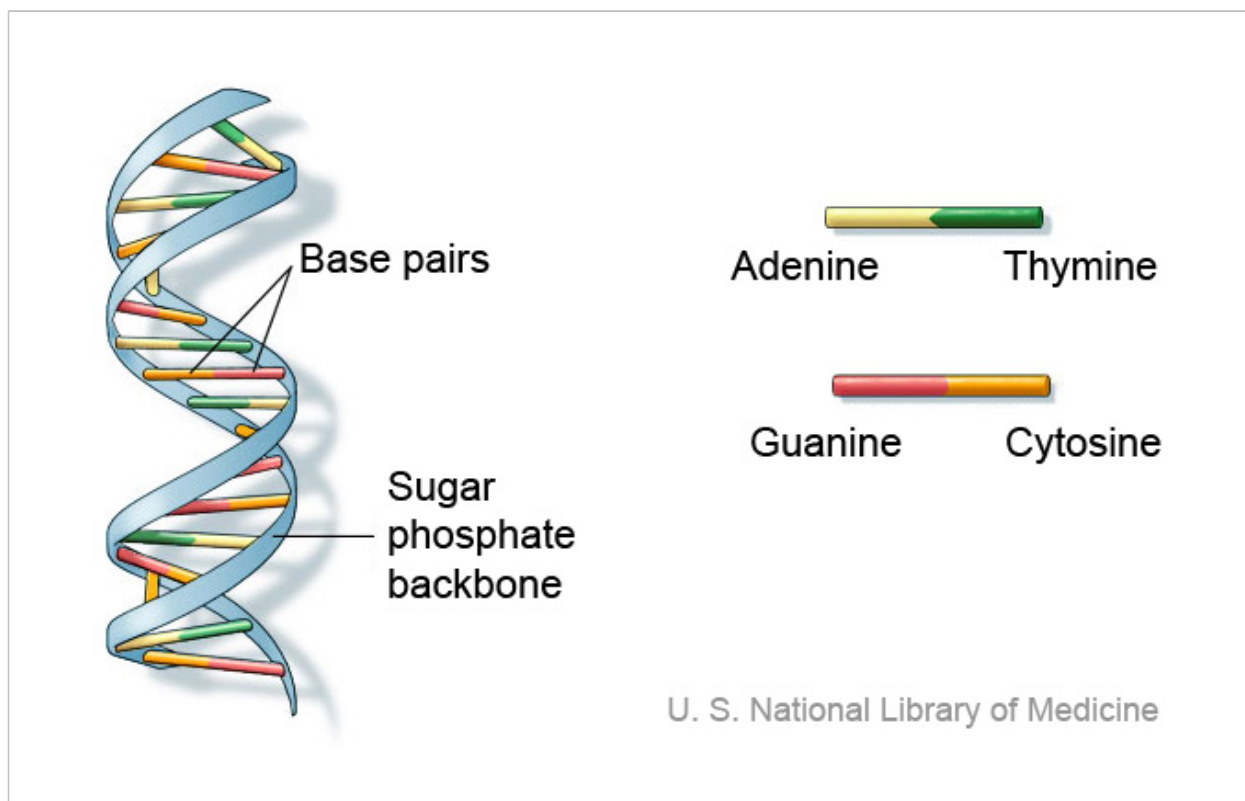


# Genterapi

Genterapi är ett sätt att återställa funktionen hos celler där gener saknas eller inte fungerar ordentligt. Gener innehåller all information för att bygga och upprätthålla celler och kodas av deoxiribonukleinsyra (DNA). Kärnan i varje cell innehåller tjugotre par kromosomer, där tusentals gener finns. Vissa sjukdomar orsakas av små förändringar i genernas DNA, som kallas genetiska variationer. Variationer inträffar när information som kodas av generna kopieras felaktigt, vilket kan leda till produktion av defekta proteiner som orsakar sjukdomar. Genterapi används för att åtgärda problemet vid källan. Det innebär att sjuka vävnader och organ därefter kan fungera korrekt.



Genterapi är en högst experimentell teknik som har sett lovande ut vid vissa kliniska prövningar på människor för exempelvis immunbristsjukdomar (där immunsystemet inte fungerar som det ska), muskeldystrofi (progressiv förlust av

skelettmuskler) och anemi (minskning av antalet eller funktionen hos röda blodkroppar). Sedan 1990 har över 1 700 kliniska prövningar ägt rum över hela världen.

Genterapi är användbart för sjukdomar där en enda gen berörs, antingen genom en enda variant eller flera variationer i samma gen. Vid sjukdomar där flera gener berörs är denna metod mycket mer komplicerad och har små utsikter att fungera.

## Ytterligare resurser

- European Society of Gene and Cell Therapy. (2011, October 29). *Introduction to Gene Therapy*. Retrieved June 17, 2015, from <https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx>

## Referenser

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