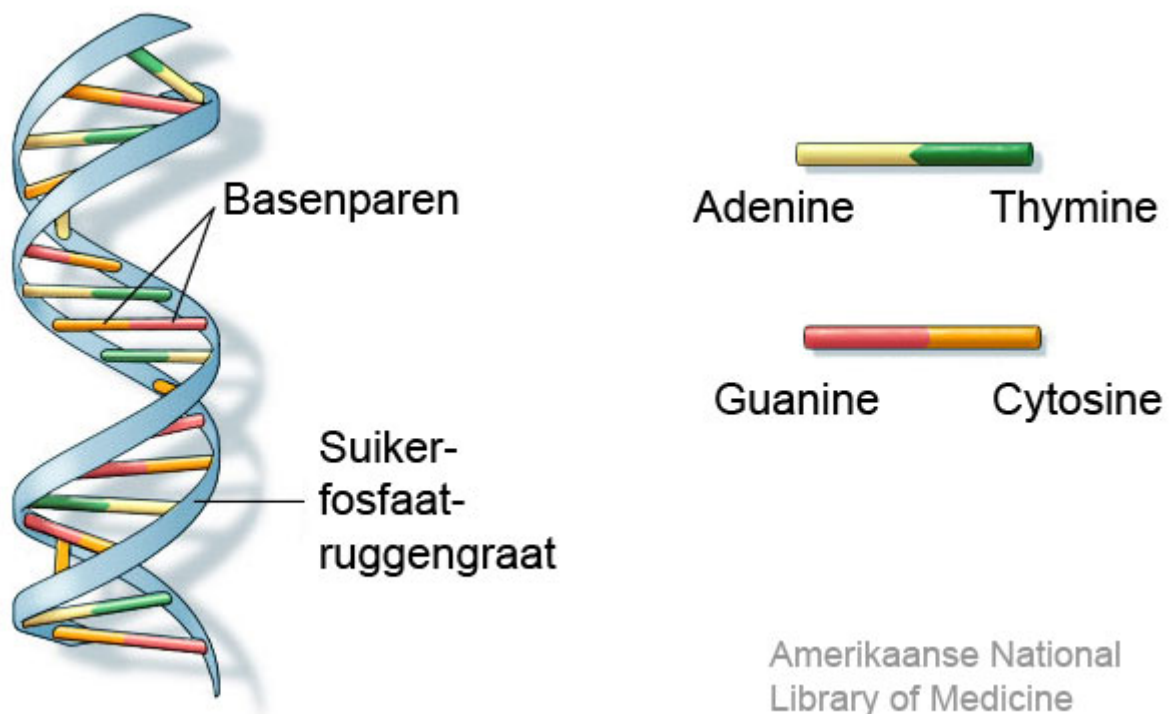


Gentherapie

Gentherapie is een manier om de werking te herstellen in cellen waar genen ontbreken of niet goed functioneren. Genen bevatten alle informatie voor het bouwen en onderhouden van cellen en zijn gecodeerd door desoxyribonucleïnezuur (DNA). De celkern van elke cel bevat tweeëntwintig paren chromosomen, waarin zich duizenden genen bevinden. Sommige ziekten worden veroorzaakt door kleine veranderingen in het DNA van onze genen, aangeduid als genetische variaties. Variaties treden op wanneer informatie die door onze genen is gecodeerd incorrect wordt gekopieerd, en dit kan leiden tot de productie van defecte eiwitten die ziekten veroorzaken. Gentherapie wordt gebruikt om het probleem bij de bron op te lossen. Dit betekent dat zieke weefsels en organen vervolgens goed kunnen werken.



NA-structuur heeft een wenteltrapachtige structuur. De treden worden gevormd door de stikstofbasen in nucleotiden. De nucleotide met adenine vormt een paar met thymine, en cytosine met guanine. De basenparen zijn aan

elkaar gekoppeld via een ruggengraat van suiker en fosfaat. (Bron: US National Library of Medicine, zie referentie nr. 1).

Gentherapie is een zeer experimentele techniek die veelbelovend is gebleken in sommige klinische onderzoeken met mensen, voor ziekten zoals immunodeficiënties (waarbij het immuunsysteem niet goed werkt), spierdystrofie (progressief verlies van skeletspierweefsel) en anemie (afname van het aantal rode bloedcellen of de werking ervan). Sinds 1990 zijn wereldwijd meer dan 1700 klinische onderzoeken verricht.

Gentherapie is nuttig voor ziekten waarbij een enkele gen is aangetast, door hetzij een enkele variatie hetzij meerdere variaties in hetzelfde gen. Voor ziekten die meerdere genen omvatten, zal deze aanpak veel ingewikkelder zijn en waarschijnlijk niet werken.

Overige informatiebronnen

- 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>

Referenties

1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Geraadpleegd op 17 juni 2015 op <http://ghr.nlm.nih.gov/>

A2-1.06.6V1.1