

# Terapia genică

Terapia genică este un mod de restabilire a funcționării celulelor din care lipsesc gene sau ale căror gene nu funcționează corect. Genele conțin toate informațiile privind creșterea și întreținerea celulelor și sunt codificate prin intermediul acidului dezoxiribonucleic (ADN). Nucleul fiecărei celule conține douăzeci și trei de perechi de cromozomi, aceștia conținând, la rândul lor, mii de gene. Anumite boli sunt cauzate de mici schimbări ale ADN-ului genelor noastre, cunoscute drept variații genetice. Variațiile au loc atunci când informațiile codificate de către gene sunt copiate incorect, ceea ce poate duce la producerea unor proteine incorecte, care cauzează boli. Terapia genică este utilizată pentru rezolvarea acestei probleme la sursă. Acest lucru permite apoi țesuturilor și organelor bolnave să funcționeze corect.

Terapia genică este o tehnică experimentală care pare promițătoare în urma câtorva studii clinice pe oameni, efectuate pentru boli precum imunodeficiențele (în cazul cărora sistemul imunitar nu funcționează corect), distrofia musculară (pierderea progresivă a mușchilor scheletici) și anemia (reducerea numărului sau funcției celulelor roșii din sânge). Începând din anul 1990, la nivel mondial au avut loc peste 1700 de studii clinice.

Abordarea care utilizează terapia genică este utilă pentru bolile în care este afectată o singură genă, care poate prezenta una sau mai multe variații. În bolile care implică mai multe gene, această abordare este mult mai complicată și are puține șanse de reușită.

# Resurse suplimentare

- 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>

# Referințe

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