

Terapia genowa

Terapia genowa jest sposobem przywracania funkcjonowania genów w komórkach, w których ich nie ma lub nie działają prawidłowo. Geny zawierają wszystkie informacje potrzebne do tworzenia i utrzymania komórek ciała zakodowane za pomocą kwasu dezoksyrybonukleinowego (DNA). Jądro każdej komórki zawiera dwadzieścia trzy pary chromosomów, na których znajdują się tysiące genów. Pewne choroby wynikają z małych zmian w DNA genów, co określa się jako wariacje genetyczne. Wariacje występują, kiedy informacje zakodowane za pomocą genów zostają nieprawidłowo skopiowane, co może prowadzić do wytwarzania nieprawidłowych białek powodujących choroby. Stosowanie terapii genowej ma na celu usunięcie problemu w jego źródle. Oznacza to przywrócenie możliwości prawidłowego działania tkanek i narządów.

Terapia genowa jest wysoce eksperymentalną techniką dającą obiecujące wyniki w niektórych badaniach klinicznych z udziałem ludzi cierpiących na takie choroby jak niedobory odporności (kiedy układ odpornościowy nie działa prawidłowo), dystrofia mięśniowa (postępujący zanik mięśni szkieletowych) i niedokrwistość (zmniejszenie liczby krwinek czerwonych lub osłabienie ich działania). Od 1990 roku na świecie przeprowadzono ponad 1700 badań klinicznych.

Terapia genowa jest przydatna w przypadku chorób związanych z wadą pojedynczego genu wynikającą z pojedynczej lub wielu wariacji w tym samym genie. W chorobach wynikających z nieprawidłowego działania wielu genów to podejście jest znacznie bardziej złożone, a szanse jego działania są niewielkie.

Inne materiały

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

Piśmiennictwo

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