



УДК 575.113

## ЗДОБУТКИ ГЕННОЇ ТЕРАПІЇ

Студ. Л. О. Ластовецька, гр. ББТ-18  
Науковий керівник доц. О.В. Кислова  
Київський національний університет технологій та дизайну

**Мета і завдання.** Метою нашої роботи було визначення переваг та недоліків генної терапії, а також основних положень та способів лікування в даній галузі біотехнології. **Завдання** полягає в визначенні шляхів лікування різних хвороб та перспектив створення прогресивних методів боротьби з захворюваннями, як вродженими, так і набутими.

**Об'єкт та предмет дослідження.** Об'єктом дослідження є основні поняття про генну терапію та її методи лікування. Предметом дослідження є пошук та аналіз відповідної інформації.

**Результати дослідження.** Генна терапія - це сукупність технологій, що змінюють генетичний апарат соматичних клітин людини. Головне її призначення - лікування спадкових захворювань. Основна ідея - замінити дефектний ген нормальним. Для цього з організму спочатку виділяють клітини, вводять в них здоровий ген і поміщають їх назад. Таку терапію проводять, наприклад, для гена тимідинкінази у людей з важкою формою імунodefіциту.

Під генною терапією розуміють корекцію того чи іншого спадкового захворювання шляхом введення в клітину-мішень функціонального гена, що експресує. Діапазон генної терапії останнім часом розширився: з'явилася можливість посилювати імунну відповідь для боротьби з раком, створювати нові кровоносні судини, забезпечувати стійкість організму до інфекційних агентів. Сьогодні мова йде про соматичну генну терапію, тобто про впровадження генів в соматичні клітини, але не в статеві (в силу чинної заборони). Техноlogічно генна терапія в даний час поділяється на два різновиди - генна терапія *ex vivo* і *in vivo*.

Генна терапія *ex vivo* включає в себе такі етапи: 1) отримання клітинного матеріалу від хворого; 2) виправлення генетичного дефекту шляхом перенесення нормального гена в ізольовані клітини; 3) відбір і культивування (розмноження) «виправлених» клітин; 4) трансплантація цих клітин пацієнту.

Генна терапія *in vivo* передбачає внесення «терапевтичного» гена безпосередньо в тканину організму, яка його потребує. І в тому, і в іншому випадку головною проблемою є «засоби доставки» потрібного гена в клітини. Одним з напрямків в генній терапії є введення терапевтичного гена в стовбурові клітини і їх подальша інфузія в організм реципієнта. Основним недоліком сучасної генної терапії є нетривалість ефекту - від 6 до 18 місяців. Це пов'язано з елімінацією модифікованих клітин. Кардинальним вирішенням проблеми було б впровадження терапевтичного гена в статеві клітини, однак на таку технологію продовжує діяти мораторій.

**Висновки.** Генна терапія вже успішно застосовується, але поки всі ці дослідження проводять як експериментальні, адже технологія є складною і вимагає ретельного вивчення можливих ризиків і негативних наслідків. Загалом генна терапія зможе дозволити лікувати ряд таких випадкових хвороб, як недостатність дезамінозного адонезину (ДАА), гемофілію, муковісцидоз і обіцяє певні успіхи в лікуванні міопатії, а також ряду інших ракових захворювань. Ще слід досягти певного прогресу, зокрема щодо введення генів, ізолювання та вирощування на склі клітин-носіїв. Проте є всі підстави вважати, що ця форма терапії відтепер є добірною зброєю в лікуванні хвороб, спричинених генетичними аномаліями.

**Ключові слова:** нанотехнології, генна терапія, наслідкові хвороби, генетичні аномалії.

### ЛІТЕРАТУРА

1. <http://www.poznavayka.org/uk/anatomiya-ta-meditsina/perspektivi-gennoyi-terapiyi>
2. [https://pidruchniki.com/78595/agropromislovist/tehnologiyi\\_zastosuvannyam\\_biotehnologiyi](https://pidruchniki.com/78595/agropromislovist/tehnologiyi_zastosuvannyam_biotehnologiyi)
3. <https://nptel.ac.in/courses/102103013/pdf/mod8.pdf>