

БЕЛОРУССКИЙ ГОСУДАРСТВЕННЫЙ
ПЕДАГОГИЧЕСКИЙ УНИВЕРСИТЕТ им. М.ТАНКА
ИНСТИТУТ ИНКЛЮЗИВНОГО ОБРАЗОВАНИЯ
КАФЕДРА КОРРЕКЦИОННО-РАЗВИВАЮЩИХ
ТЕХНОЛОГИЙ

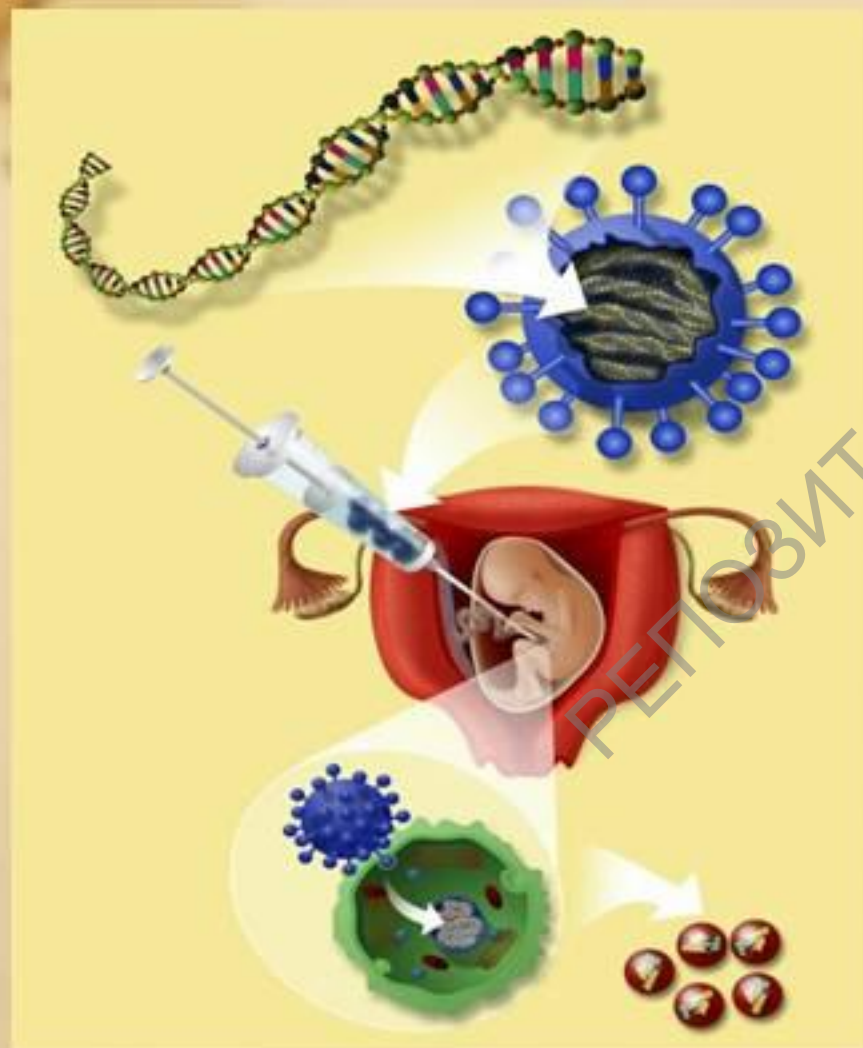
ОСНОВЫ ГЕНЕТИКИ ЧЕЛОВЕКА

ГЕННАЯ ТЕРАПИЯ

Доцент Д.Л.НИКОЛАЕВ

Будущее генетики

Генотерапия



Генотерапия (генная терапия) — совокупность генноинженерных (биотехнологических) и медицинских методов, направленных на внесение изменений в генетический аппарат соматических клеток человека в целях лечения заболевания. Это новая и бурно развивающаяся область, ориентированная на исправление дефектов, вызванных мутациями в структуре ДНК или придания клеткам новых функций.



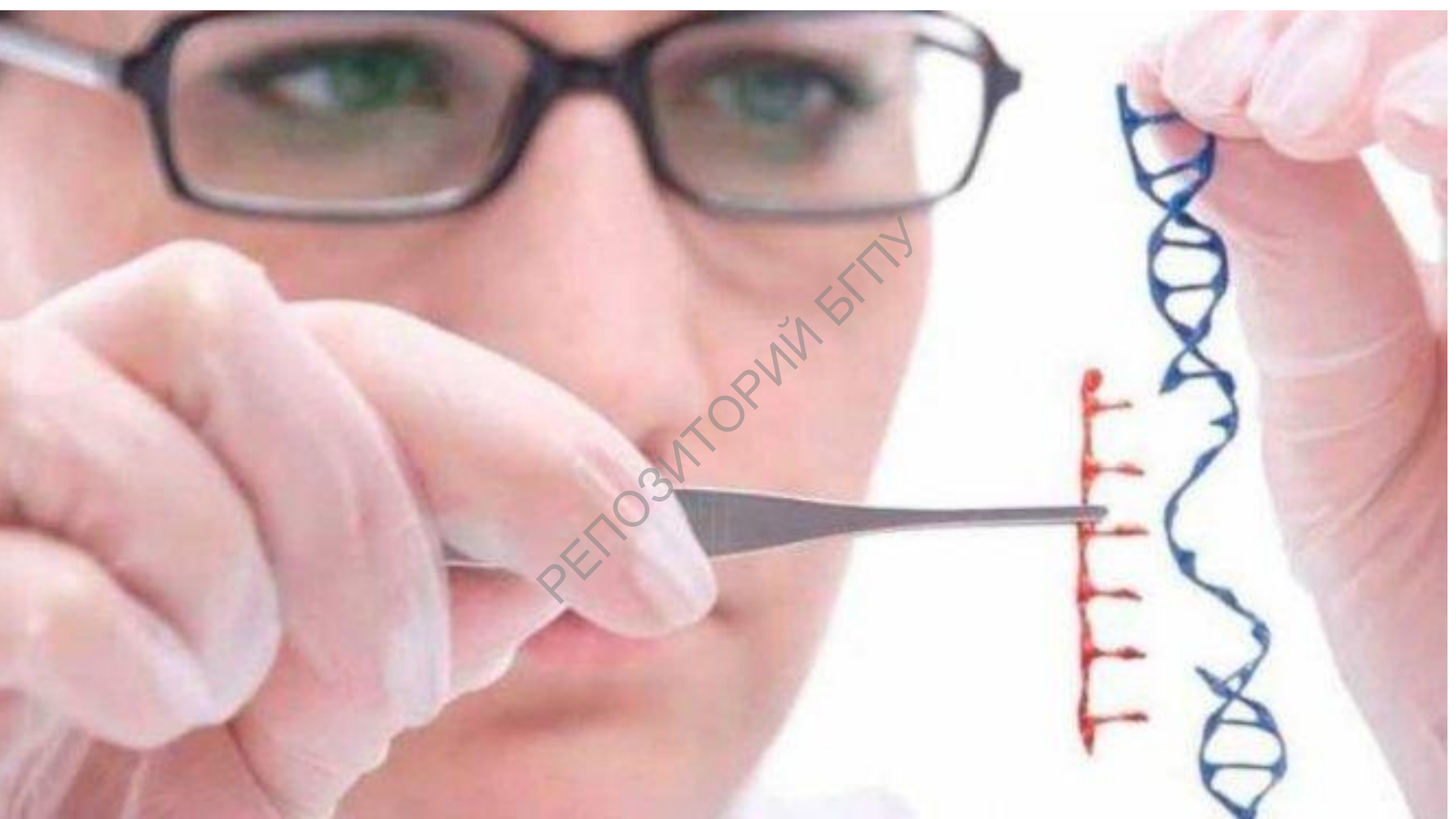
РЕПОЗИТОРИЙ БГПУ



РЕПОЗИТОРИЙ БГПУ



РЕПОЗИТОРИЙ БГПУ



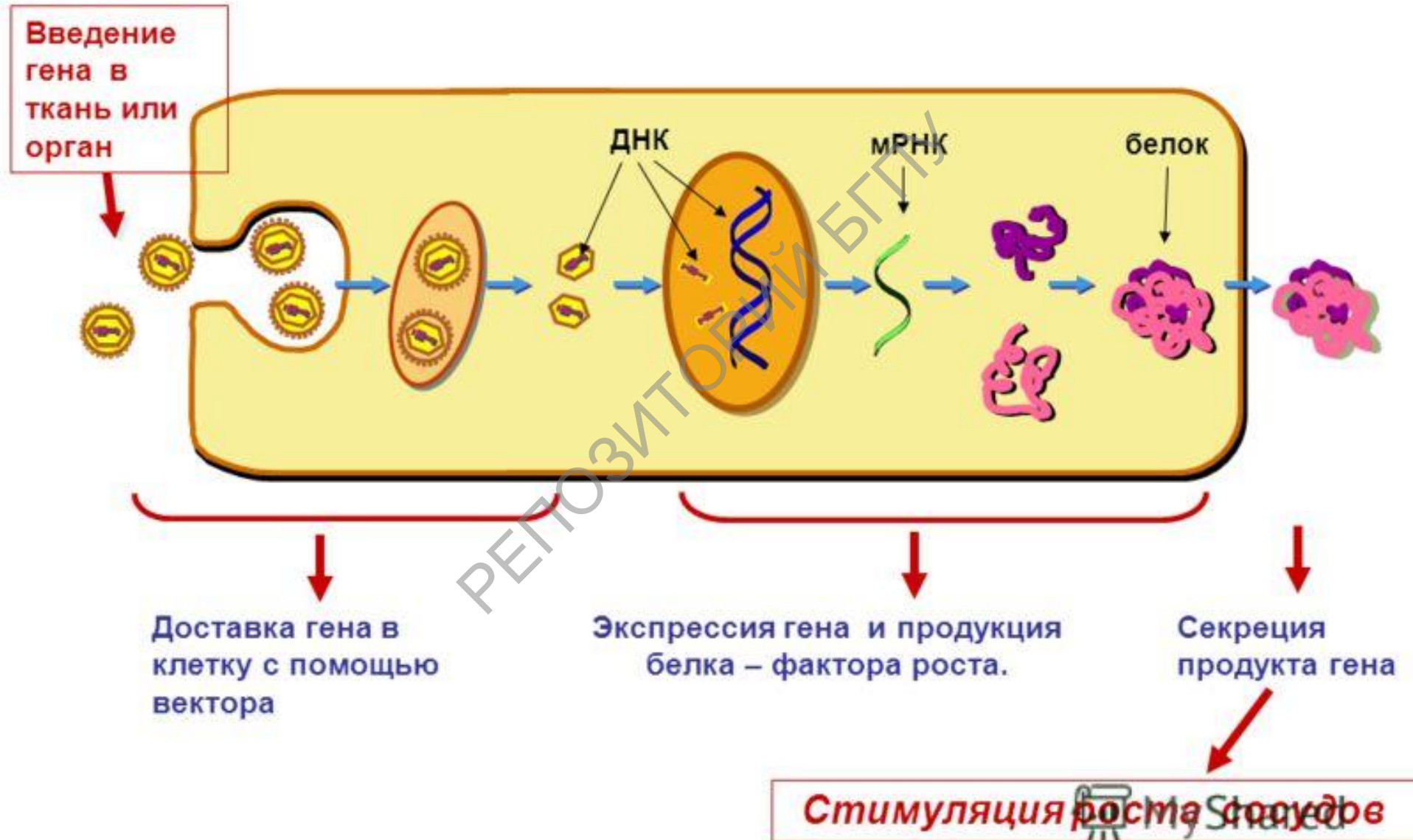
РЕПОЗИТОРИЙ БГПУ



РЕПОЗИТОРИЙ БГПУ



ГЕННАЯ ТЕРАПИЯ – лечение болезней путем введения ДНК или РНК специфических генов в клетки организма



Принципы генной терапии

Классификация генной терапии

1) по типу клеток-мишеней:

- **соматическая**
- **фетальная**

• 1) по типу клеток-мишеней:

соматическая

фетальная

2) по цели воздействия:

позитивная (*компенсация*

экспрессии гена)

негативная (*подавление*

функций гена)

3) по тактике введения генотерапевтического агента:

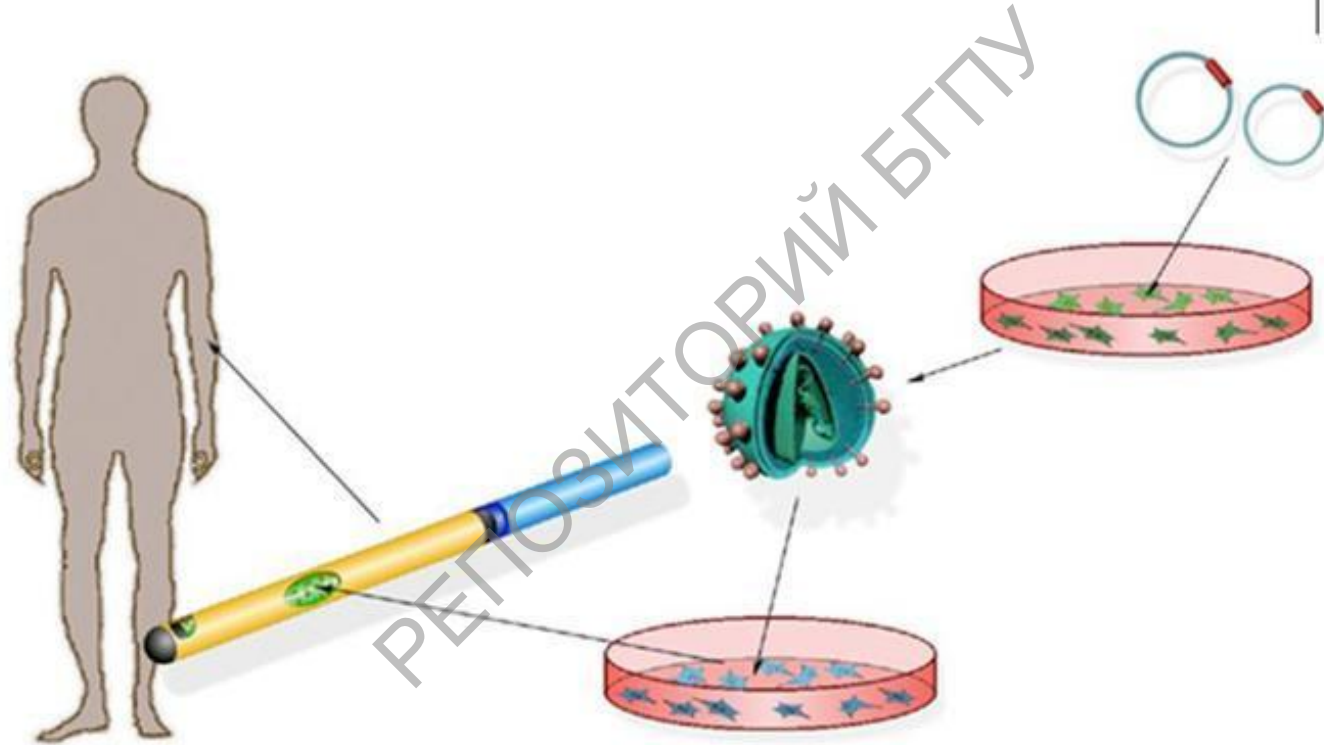
1. *ex vivo*

2. *in vivo*

• *in utero* (*введение конструкций в эмбрион*)

• *in situ* (*локально*)

СОМАТИЧЕСКАЯ ГЕНОТЕРАПИЯ



Генная терапия соматических клеток

Корректирующая терапия

- Выявить «больной» ген
- Получить нормальный ген
- Ввести ген во все больные клетки и обеспечить его работу и регулирование





Успешная генная терапия слепоты

- С помощью генной терапии **частично восстановлено зрение** людям с наследственной прогрессирующей формой слепоты - хориоидеремией. Исследователи заменили дефектный ген, сделав пациентам однократную инъекцию нормально работающей копии гена. Результаты I фазы КИ в будущем могут помочь в лечении других генетически обусловленных заболеваний органа зрения, например, дегенерации желтого пятна и пигментного ретинита.
- **Конечной целью генной терапии будет сохранение центральной части сетчатки от дальнейшей дегенерации.** И даже в случае, если эффект от такого лечения окажется небольшим, это будет иметь положительное значение, так как существуют дополнительные терапевтические меры, помогающие сохранить или восстановить зрительные функции.

The Lancet, Early Online Publication, 16 Jan 2014

Robert MacLaren et al., Oxford University



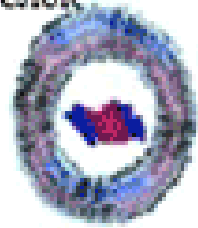
Генная терапия *in vivo*

Невирусные векторы

Конъюгаты ДНК-белок

Липосомы

Электропорация

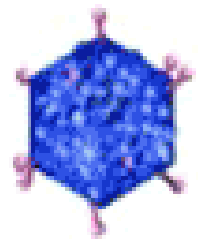


Вирусные векторы

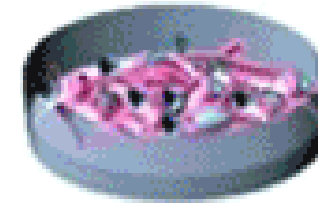
Аденовирусы

Ретровирусы

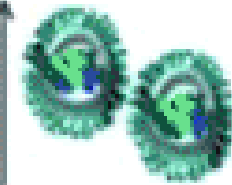
AAV



Генная терапия *ex vivo*

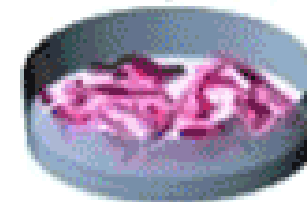


Культивирование клеток



Трансдукция

введение
генетического
материала
в клетки

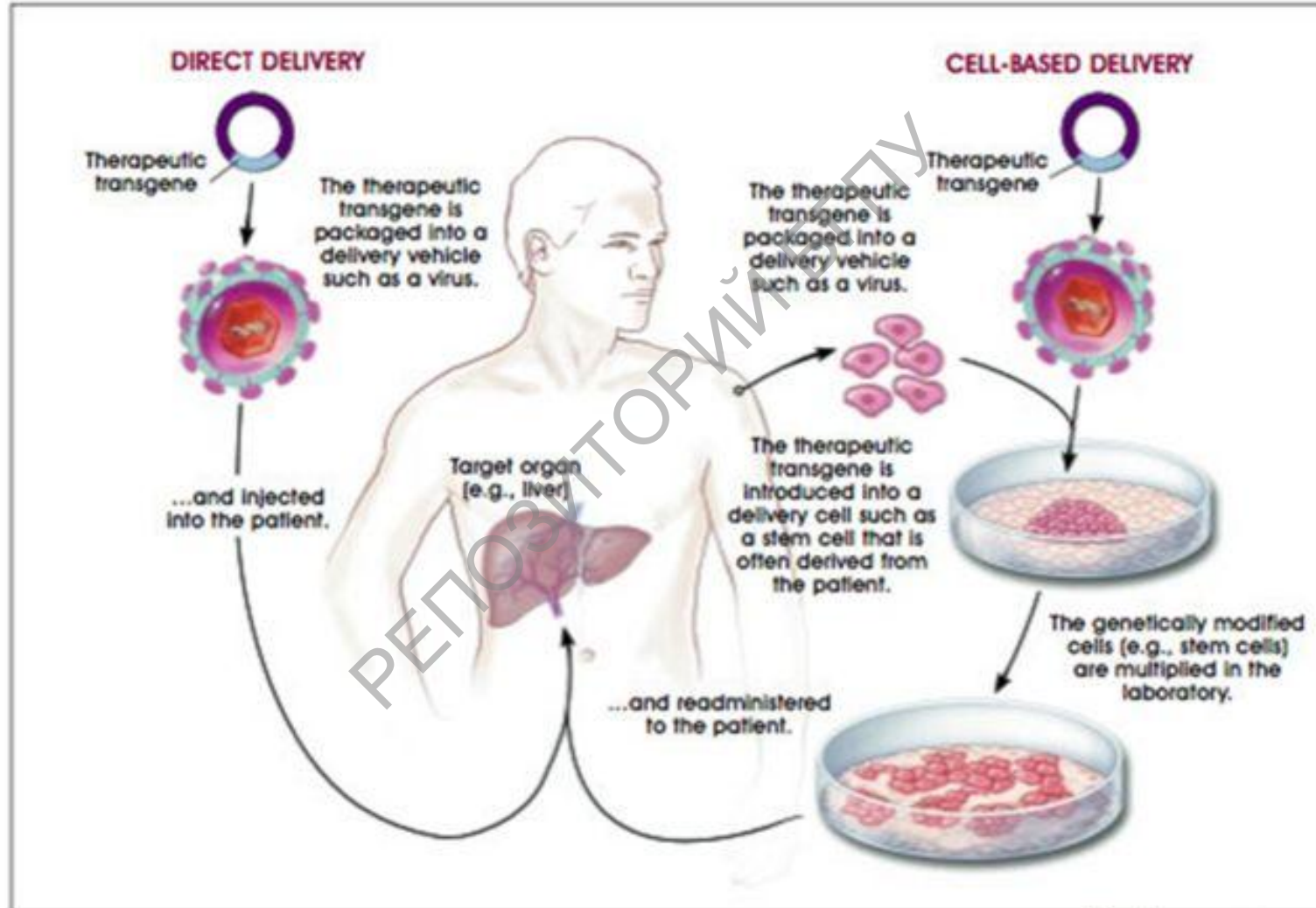


Изоляция клеток

РЕПОЗИТОРИЙ БГПУ



Генная терапия



- Зарегистрировано 636 клинических протоколов генной терапии
- 3496 пациента имеют в своем организме генетически модифицированные клетки

- 63,4 % протоколов и 68,4 % пациентов - генная терапия злокачественных новообразований (цитокины и суицидные гены)
- 12,3 % и 8,8% - генная терапия моногенных наследственных болезней
- 6,4% и 11,7% - генная терапия инфекционных заболеваний

Выводы:

Генная терапия пригодна для лечения широкого спектра заболеваний.

Генная терапия имеет низкий уровень риска осложнений.

Эффективность генной терапии на сегодняшний день близка к нулю.