



СОВРЕМЕННЫЕ МЕТОДЫ ГЕННОЙ ТЕРАПИИ: ПЕРСПЕКТИВЫ И РИСКИ

Куриязова Саодат Маткаримовна
Косимова Махлиё Исломовна

АННОТАЦИЯ: Генная терапия представляет собой инновационную и многообещающую область медицины, направленную на лечение и профилактику различных заболеваний путем внесения изменений в генетический материал клеток организма пациента. В последние десятилетия генетическая модификация клеток стала возможной благодаря достижениям в области молекулярной биологии и биотехнологий. В данной статье мы проанализируем текущие достижения, перспективы и риски, связанные с применением генной терапии, а также обсудим проблемы безопасности и этические аспекты этой технологии.

КЛЮЧЕВЫЕ СЛОВА: Генная терапия, CRISPR/Cas9, стволовые клетки, вирусные векторы, генетическая модификация, риски, этические вопросы, редактирование генома, молекулярная биология.

АННОТАЦИЯ: Ген терапияси — бу тиббиётнинг инновацион ва келажакка умид бағишловчи йўналиши бўлиб, бемор организмнинг ҳужайраларидаги генетик материалга ўзгартишлар киритиш орқали турли касалликларни даволаш ва олдини олишга қаратилган. Охирги ўн йилликларда молекуляр биология ва биотехнология соҳасидаги ютуқлар туфайли ҳужайраларнинг генетик модификацияси мумкин бўлди. Ушбу мақолада биз ген терапиясининг ҳозирги ютуқлари, истиқболлари ва хавфларини таҳлил қиламиз, шунингдек, хавфсизлик масалалари ва бу технологиянинг этик жиҳатларини муҳокама қиламиз.

КАЛИТ СЎЗЛАР: *Ген терапия, CRISPR/Cas9, Stem хужайралар, Вирус векторлар, Генетик модификация, Хавф-хатарлар, Этик масалалар, Геномни текшириш, Молекуляр биотехнология.*

АННОТАЦИЯ: *Gene therapy is an innovative and promising field of medicine aimed at treating and preventing various diseases by modifying the genetic material within a patient's cells. In recent decades, genetic modification of cells has become possible due to advancements in molecular biology and biotechnology. In this article, we will analyze the current achievements, prospects, and risks associated with the application of gene therapy, as well as discuss safety issues and the ethical aspects of this technology.*

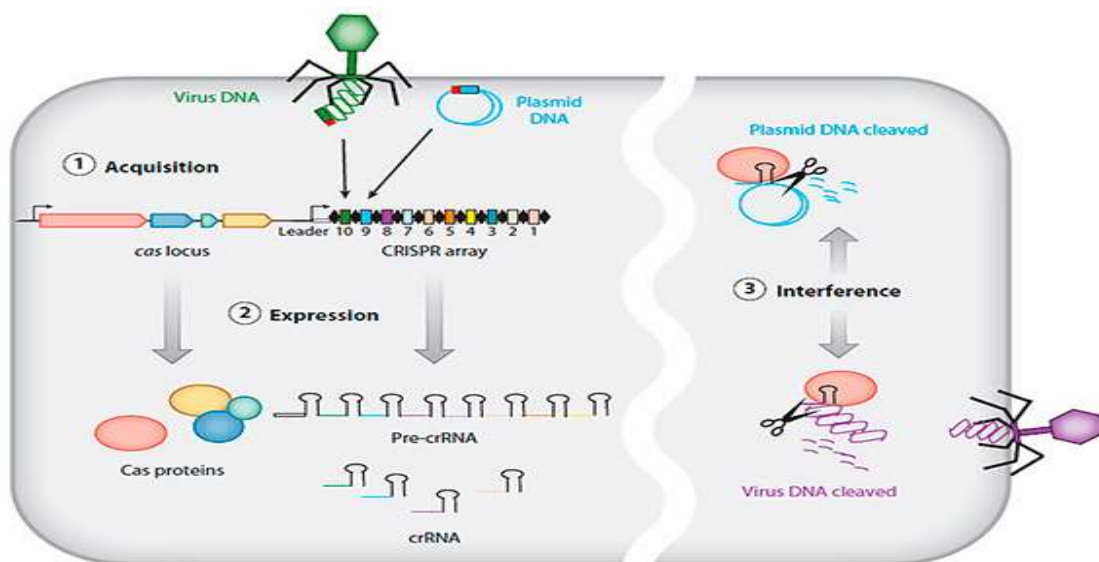
KEYWORDS: *Gene therapy, CRISPR/Cas9, Stem cells, viral vectors, Genetic modification, Risks, Ethical issues, Genome editing, Molecular biology.*

ВВЕДЕНИЕ: Генная терапия в последние десятилетия привлекла внимание научного сообщества как эффективный способ лечения ряда генетических заболеваний, таких как муковисцидоз, гемофилия, серповидноклеточная анемия, а также сложных заболеваний, таких как рак и некоторые вирусные инфекции. На фоне традиционных методов лечения, таких как химиотерапия и хирургическое вмешательство, генетическое лечение представляет собой революционное направление, которое ориентировано на исправление причин заболеваний, а не на лечение их симптомов. Первые успешные эксперименты в области генной терапии были проведены в 1990 году, когда группа ученых успешно применила генную терапию на пациентах с иммунодефицитом. С тех пор исследования в этой области активно развиваются. Однако, несмотря на большие успехи, многие вопросы остаются открытыми, в том числе вопросы безопасности, этические аспекты и долгосрочные последствия применения таких технологий.

Механизмы генной терапии: Генная терапия основывается на внедрении, изменении или удалении генетического материала в клетках пациента с целью

лечения или профилактики заболеваний. Это может быть достигнуто несколькими методами, каждый из которых использует различные механизмы воздействия на геном пациента. Рассмотрим основные механизмы, которые используются в современной генной терапии:

1. Редактирование генома одним из самых популярных и мощных методов генной терапии является редактирование генома, которое позволяет точно и эффективно изменять последовательность ДНК в клетках пациента. Современные технологии редактирования генома позволяют ученым вносить изменения на уровне отдельных нуклеотидов или даже целых генов. Самая известная и широко используемая технология редактирования генома — это CRISPR/Cas9.



Это система, впервые обнаруженная в бактериях, которая используется как инструмент для редактирования ДНК. Эта система позволяет точно нацеливаться на специфическую последовательность генома и вносить изменения. Механизм работы CRISPR/Cas9 включает в себя два основных этапа:

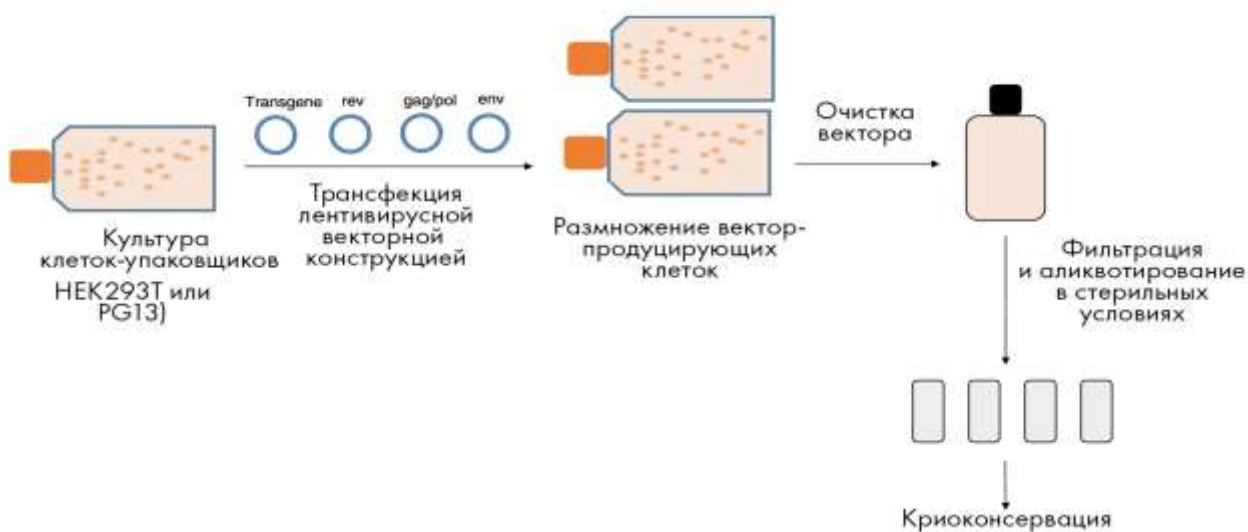
1) *Опознавание целевого гена*: Система CRISPR использует направляющую РНК, которая комплементарна целевой ДНК. Это позволяет Cas9 точно находить и связываться с нужным участком ДНК в клетке.

2) *Разрезание ДНК*: Cas9 действует как молекулярные ножницы, разрезая обе цепи ДНК в указанном месте. После разреза клетки пытаются восстановить поврежденную ДНК, и этот процесс можно направить так, чтобы либо вставить новый ген, либо удалить дефектный участок.

Это открывает возможности для лечения таких заболеваний, как серповидноклеточная анемия, муковисцидоз, гемофилия и даже рак, редактируя дефектные гены и устраняя причины заболевания

Основной задачей генетической терапии является доставка генетического материала в клетки пациента. Это можно осуществить с помощью *векторов*, которые обеспечивают перенос генетического материала в клетку. Существует несколько типов векторов, каждый из которых имеет свои особенности и ограничения.

Вирусные векторы являются одними из наиболее эффективных средств доставки генов в клетки. Вирусы обладают естественной способностью проникать в клетки, и это свойство используется в генной терапии для доставки терапевтических генов.



Наиболее широко используются следующие вирусные векторы:

□ *Аденовирусы*: Обладают высокой способностью к инфицированию различных типов клеток. Однако их применение ограничено возможными иммунными реакциями и недостаточной продолжительностью выраженного эффекта.

□ *Аденоассоциированные вирусы (AAV)*: Эти вирусы вызывают меньше иммунных реакций, что делает их предпочтительными для терапии некоторых заболеваний, таких как наследственные заболевания глаз и мышечные заболевания.

□ *Ленти-вирусы*: Эти вирусы обладают уникальной способностью интегрировать генетический материал в геном клетки, что может быть полезно для длительной экспрессии терапевтических генов.

Безвирусные системы доставки генов представляют собой альтернативу вирусным векторным системам. Они включают липидные наночастицы, полимерные комплексы и наночастицы. Эти системы являются менее эффективными, чем вирусные векторы, но они обладают преимуществом в плане безопасности, поскольку не вызывают иммунных реакций, связанных с вирусами. Также одним из наиболее перспективных направлений в области генной терапии является использование стволовых клеток. Эти клетки обладают способностью к бесконечному делению и превращению в различные типы клеток организма. Они могут быть использованы для лечения заболеваний, связанных с повреждением тканей и органов.

Использование стволовых клеток в комбинации с генетической модификацией позволяет эффективно восстанавливать ткани, например, после инфаркта миокарда, повреждений спинного мозга или нейродегенеративных заболеваний, таких как болезнь «Паркинсона». Стволовые клетки могут быть генетически модифицированы до того, как они будут введены обратно в пациента, что позволяет не только восстановить поврежденные ткани, но и исправить дефектные гены. Помимо прямого редактирования генов и

использования стволовых клеток, существует также подход, при котором мало молекулярные соединения могут быть использованы для активации или деактивации генов. Это может быть особенно полезно для лечения рака, когда необходимо активировать ген, подавляющий опухоли, или деактивировать ген, способствующий росту раковых клеток. Для таких целей используются генные супрессоры или агонисты генов, которые могут подавлять экспрессию дефектных генов, что может улучшить состояние пациента.

Особое внимание уделяется применению генной терапии в борьбе с вирусными заболеваниями. Одним из ярких примеров является разработка генетических вакцин для лечения вирусных инфекций, таких как ВИЧ, гепатит «В» и «С», герпес и другие. В таких вакцинах используются модификации вирусного генома, которые могут стимулировать иммунный ответ пациента и помочь организму избавиться от вируса.

ЗАКЛЮЧЕНИЕ: Современные методы генной терапии открывают новые горизонты в лечении множества заболеваний, включая генетические, онкологические и инфекционные. Тем не менее, несмотря на значительный прогресс, существует ряд рисков, которые необходимо учитывать при внедрении этих технологий в клиническую практику. Безопасность, этические вопросы и высокая стоимость терапии остаются важными препятствиями на пути к широкому применению генной терапии. Необходимы дальнейшие исследования для устранения этих рисков и для улучшения доступности данной терапии для более широких слоев населения.

ИСПОЛЬЗОВАННЫЕ ЛИТЕРАТУРА:

1. Anderson, W. F. "Gene Therapy: Past, Present, and Future." *Nature Medicine*, 1998.
2. Doudna, J. A., Charpentier, E. "The New Frontier of Genome Engineering with CRISPR-Cas9." *Science*, 2014, Vol. 346, Issue 6213.

3. Sade lain, M., et al. "Gene Therapy: A New Era for Gene Editing." *Nature Biotechnology*, 20198 Dever, D. P., et al. "CRISPR/Cas9 in vivo gene editing: Applications, opportunities and challenges." *Nature Reviews Genetics*, 2017.
4. Wang, L., et al. "Stem Cell-based Gene Therapy: Recent Advances and Challenges." *Frontiers in Cell and Developmental Biology*, 2020.
5. Jasanoff, S. "CRISPR and the Ethics of Gene Editing." *The Atlantic*, 2020.
- 6.