

[Akceptuje](#)

W ramach naszej witryny stosujemy pliki cookies w celu świadczenia państwu usług na najwyższym poziomie, w tym w sposób dostosowany do indywidualnych potrzeb. Korzystanie z witryny bez zmiany ustawień dotyczących cookies oznacza, że będą one zamieszczone w Państwa urządzeniu końcowym. Możecie Państwo dokonać w każdym czasie zmiany ustawień dotyczących cookies. Więcej szczegółów w naszej [Polityce Prywatności](#)

[Portal](#) [Informacje](#) [Katalog firm](#) [Praca](#) [Szkolenia](#) [Wydarzenia](#) [Porównania międzylaboratoryjne](#)
[Kontakt](#)



[Laboratoria](#)
[.net](#)
[Innowacje](#)
[Nauka](#)
[Technologie](#)



[Logowanie](#) [Rejestracja](#) [pl](#)

Newsletter

zapisz się

Naukowy styl życia

Nauka i biznes

- [Nowe technologie](#)
- [Felieton](#)
- [Tygodnik "Nature"](#)
- [Edukacja](#)
- [Artykuły](#)
- [Przemysł](#)

[Strona główna](#) > [Informacje](#)

Terapie genowe to przyszłość medycyny



Choroby takie jak nowotwory, wrodzona ślepotą czy choroby neurologiczne będzie można wyleczyć dzięki terapiom genowym. W sprzedaży już są leki, które służą do leczenia dziedzicznej choroby siatkówki, a także inne, w których modyfikacjami genetycznymi zwiększa się szanse wyleczenia białaczki. Prowadzone są też terapie genetyczne niedoborów odporności u dzieci. Kwestią przyszłości jest pojawienie się kolejnych skutecznych terapii. Terapie genowe to przyszłość medycyny, ale na ich zastosowanie duży wpływ mają wysokie koszty i wątpliwości natury etycznej w przypadku modyfikacji eugenicznych.

- Terapia genowa polega na tym, że za pomocą metod inżynierii genetycznej dokonujemy jakiejś zmiany w komórce. Zmiana może polegać na dodaniu czegoś do sekwencji genetycznej, zabranii jakiejś sekwencji genetycznej, na zmianie wewnątrz chromosomów, choć nie tylko w nich - tłumaczy w rozmowie z agencją informacyjną Newseria Innowacje dr hab. Radosław Zagożdżon, kierownik Zakładu Immunologii Klinicznej Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego.

Obecnie prowadzone są dwa główne typy terapii genowej: zmiana genetyczna w samym organizmie poprzez np. wprowadzenie wirusa do organizmu oraz modyfikacja komórek poza organizmem człowieka, a następnie ich wszczepienie. Terapia genowa może mieć na celu wprowadzenie materiału genetycznego do komórek, aby kompensować nieprawidłowe geny lub wytworzyć korzystne białko. Jeśli zmutowany gen powoduje, że niezbędne białko jest wadliwe lub go brakuje, to terapia genowa może wprowadzić prawidłową kopię genu lub jego uproszczony odpowiednik. Stosuje się przy tym m.in. zmodyfikowane wirusy, tzw. wektory wirusowe, wyposażone w sekwencje genetyczne, które zastępują uszkodzone geny powodujące choroby w komórkach.

- Na obecnym etapie, główne cele terapii genowej to korekta prostych schorzeń, gdzie uszkodzony jest jeden konkretny gen. W przypadku niedoborów odporności są już prowadzone zaawansowane, bardzo skuteczne terapie. Między innymi we Francji u dzieci na bardzo wczesnym etapie pobierane są ich komórki macierzyste ze szpiku, następnie są one modyfikowane i zwracane. Dzieci nagle zdrowieją. Z osób, które na pewno nie przeżyłyby długo ze względu na rozwój zakażeń, nagle stają się praktycznie zdrowe. Są też już terapie modyfikacji struktur oka w okulistyce, żeby przywrócić wzrok, bajecznie drogie i bardzo trudne terapie, ale w teorii w pełni wykonalne - podkreśla dr Radosław Zagożdżon.

W ubiegłym roku amerykański Urząd ds. Żywności i Leków (FDA) zatwierdził terapię genową Luxturna. Ma ona pomóc w leczeniu dziedzicznej choroby siatkówki - wrodzonej ślepoty Lebera. Za pomocą zmodyfikowanego genetycznie wirusa można naprawić genom komórek siatkówki. Lek trafił już do sprzedaży w lutym tego roku i obecnie jest najdroższym lekiem świata - cena za pojedynczą terapię sięga 850 tys. dol. FDA zatwierdziła też terapię genową modyfikującą układ odpornościowy chorego, którą można stosować u chorych na oporną białaczkę limfoblastyczną.

Wady genetyczne są odpowiedzialne m.in. za chorobę Parkinsona, Huntingtona, mukowiscydozę, szereg chorób nowotworowych i sercowo-naczyniowych. Terapie genowe mogą pomóc wyleczyć je wszystkie lub przynajmniej poprawić jakość życia chorego. Obecne możliwości nauki są jednak ograniczone. Powstają terapie i leki, które są w stanie naprawić pojedynczy gen. W przypadku większości schorzeń odpowiedzialny za nie jest cały zespół uszkodzonych genów.

- W większości przypadków choroba nie polega na uszkodzeniu jednego genu, tylko na tzw. predyspozycji, gdzie człowiek rodzi się z pewnym zestawem genów, ale później środowisko modyfikuje tkankę człowieka, jego organizm i stąd wynika choroba. Jeżeli palimy papierosy, u części z nas rozwinię się nowotwór, u części osób nie - za to odpowiada nasz kod genetyczny. Teoretycznie możemy naprawić każdy gen, w praktyce najpierw musimy go znać, co jest bardzo trudne. Jeżeli to jest wielogenowe uszkodzenie, praktycznie w tej chwili nie mamy żadnych możliwości - przyznaje dr Radosław Zagożdżon.

Jak wskazuje ekspert, modyfikacje genetyczne niosą za sobą różnego rodzaju zagrożenia i skutki uboczne. Dużo zależy od modyfikowanego genu. Także stosowanie wektorów wirusowych może się okazać szkodliwe dla organizmu. Nie wiadomo, jak zareaguje dany organizm, który broni się przed wirusem.

- Zawsze ryzykujemy, że naprawiając jedną strukturę, uszkodzimy inną strukturę naszego genomu, co samo z siebie powoduje możliwość powstania chociażby nowotworu. Znane są przykłady zgonów po wprowadzeniu wektora wirusowego do człowieka, bo jego układ odpornościowy odpowiedział dramatycznie silnie na wprowadzoną strukturę. Jeżeli terapie są wprowadzone poza ustrojem człowieka, ryzyko skutków ubocznych samej terapii genetycznej maleje, co nie znaczy, że terapie są bezpieczne - mówi ekspert.

Modyfikacje genetyczne mogą też budzić wątpliwości natury etycznej. W Europie czy USA przeprowadza się modyfikacje embrionów zwierzęcych w celach wyłącznie naukowych. Chińscy badacze próbowali zaś skorygować wady genetyczne embrionów ludzkich, co wzbudziło wówczas negatywną reakcję części naukowców zachodnich. Na Zachodzie takie eksperymenty do niedawna były zabronione. Nadal trwa debata nad ich dopuszczeniem.

- Prawdopodobnie nie uda się rozwiązać wszystkich problemów medycznych za pomocą modyfikacji genetycznych, jednak trzeba mieć nadzieję, że wiele chorób w ten sposób zostanie wyleczonych lub że organizm człowieka będzie dzięki nim znosił skutki choroby w miarę łagodnie. Przed tymi terapiami w tej chwili istnieją dramatyczne wyzwania natury technologicznej, istnieje dużo wątpliwości natury etycznej, plus jeszcze olbrzymie koszty związane ze stosowaniem tej terapii. Przełamanie tych wyzwań jest pierwszym etapem, abyśmy w ogóle mogli mówić o skuteczności terapii genetycznych - podsumowuje dr Radosław Zagożdżon.

Źródło: www.newseria.pl

<http://laboratoria.net/aktualnosci/28406.html>



23-04-2025

NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie"

Z mW tym roku 10 wybranych projektów uzyska w sumie prawie 4,4 mln zł wsparcia.



23-04-2025

Misja z polskim astronautą

W maju na Międzynarodową Stację Kosmiczną może ona wystartować.



23-04-2025

Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach

Badania te podsumowano w komunikacie Wydziału Fizyki UW.



23-04-2025

Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja

Ponad 500 różnych wydarzeń.



23-04-2025

[Popularyzator astronomii](#)

Po prostu patrzmy w niebo



23-04-2025

[Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów...](#)

Informuje pismo „JAMA Internal Medicine”.



23-04-2025

[Wszechświat może się bardzo wolno obracać](#)

Twierdzą naukowcy z University of Hawaii w Manoa.



23-04-2025

Weganom może brakować lizyny i leucyny

Można je znaleźć m.in. w roślinach strączkowych, orzechach i nasionach.

Informacje dnia: [NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie"](#) [Misja z polskim astronautą](#) [Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach](#) [Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#) [Popularyzator astronomii](#) [Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów w USA](#) [NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie"](#) [Misja z polskim astronautą](#) [Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach](#) [Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#) [Popularyzator astronomii](#) [Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów w USA](#) [NAWA ogłosiła nowy pilotażowy program "Naukowcy w potrzebie"](#) [Misja z polskim astronautą](#) [Kwantowa kontrola zderzeń nie tylko w ultraniskich temperaturach](#) [Podlaski Festiwal Nauki i Sztuki w dniach 9-18 maja](#) [Popularyzator astronomii](#) [Tomografie komputerowe mogą odpowiadać za 5% wszystkich nowotworów w USA](#)

Partnerzy