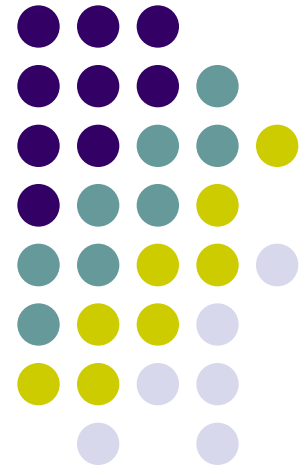


# Genų įterpimas į organizmą virusų pagalba (genų terapija)





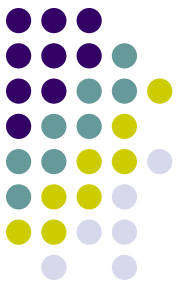
# Tikslai:

- Sužinoti kokie yra svarbiausi genų terapijos metodai.
- Kas tai yra genų terapija.
- Kokių yra virusinių vektorių.
- Ir kokios ligos gydomos taikant genų terapija.



- Genų terapijoje yra trys svarbiausi genų terapijos metodai:
- 1. *Ex vivo* metodas. Pažeistos ląstelės pašalinamos iš organizmo. Genetiniais veiksniais pagerinama jų funkcija. Ląstelės gražinamos į organizmą. Metodas taikomas gydyti sunkios formos mišrų imunodeficitą (SMID). Į sergančių SMID naujagimių kamienines ląsteles įterpiami „sveiki“ genai, ląstelės gražinamos į kaulų čiulpus. Ląstelių funkcija išlieka normali net ir praėjus 2 metams po gydymo.

- 2. *In situ* metodas. Jis taikomas gydant vietinius pažeidimus, bet netinkamas sisteminiems ligoms gydyti. Naudojant geno nešiklį, genas įterpiamas į audinį, kuriame jo funkcija yra sutrikusi. Metodas gali būti taikomas cistinei fibrozei ir raumenų distrofijai gydyti.

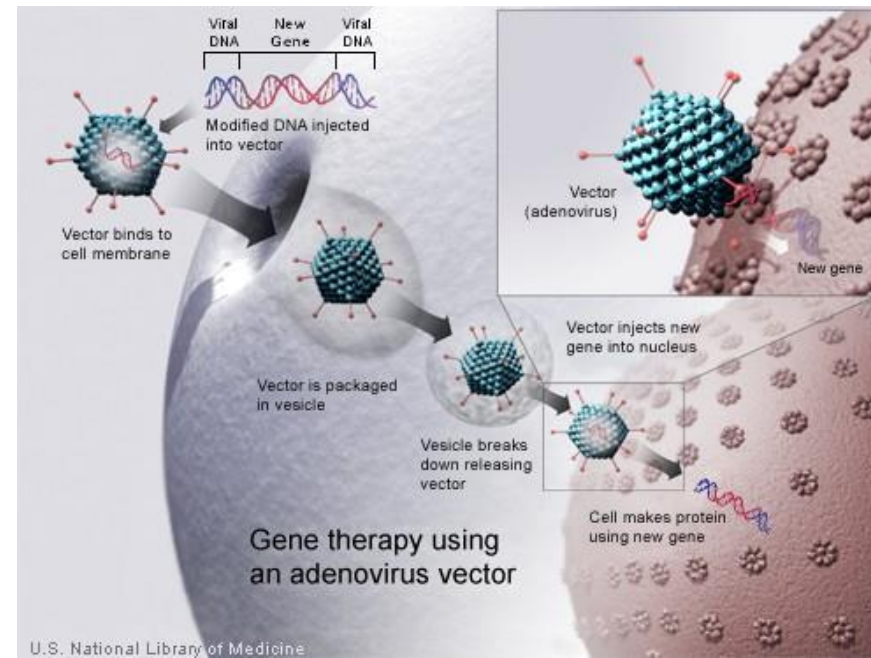


- 3. *In vivo* metodas. Taikant šį metodą, geno nešiklis turėtų būti įšvirkštas į kraują, iš čia jis nukeliautų į ląsteles, kurių funkcijos yra pakitusios. Šis idealus metodas dar nėra sukurtas.





- **Genų terapija** yra klonuotų genų įterpimas į gyvas ląsteles, bandant išgydyti ligą.
- Genų terapijos tikslams reikiamas genas įterpiamas į daleles, galinčias patekti į organizmo ląsteles. Šios geną pernešančios dalelės vadinamos vektoriais. Vektoriai gali būti virusiniai, nevirusiniai ir fiziniai. Nesvarbu, kokia vektoriaus prigimtis, visi jie turi būti specifiški taikiniams (ląstelėms ar audiniams), genų ekspresijos trukmė turi būti pakankama, o svarbiausia, genų pernešimas ir ekspresija turi būti saugūs. Kartu su reikiamaisiais terapiniais genais į vektorius gali būti įterpti ir indukuojami promotoriai, leidžiantys reguliuoti įterptų genų ekspresiją.



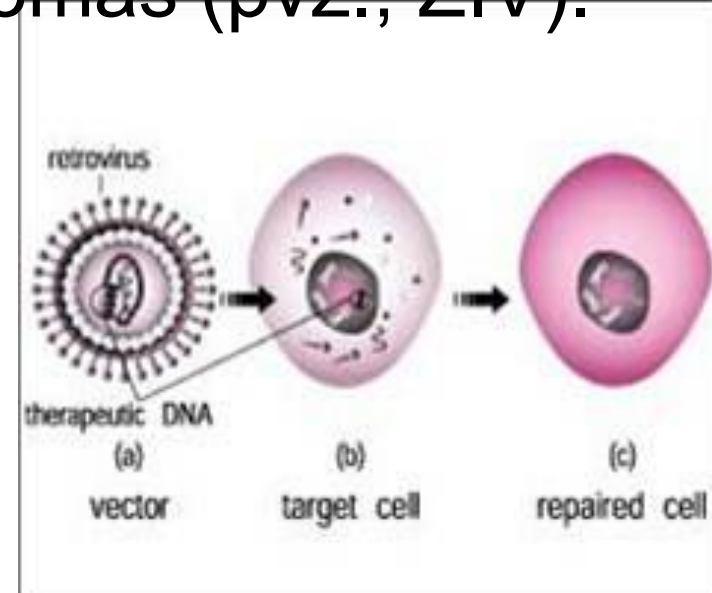
- Šiuo metu plačiausiai naudojami virusiniai vektoriai. Iš virusų pašalinami ligas sukeliantys komponentai ir į juos įterpiami rekombinantiniai genai – taip gaunami “genetiniai vaistai”, galintys į šeimininko ląsteles pernešti reikalingus genus. Dažniausiai naudojami virusiniai vektoriai yra šie:



# Retrovirusai



- Retrovirusų genomą sudaro RNR. Šie virusai gali sukurti savo RNR genomo dvigrandes DNR kopijas, kurios gali būti integruotos į ląstelių šeimininkų chromosomas (pvz., ŽIV).

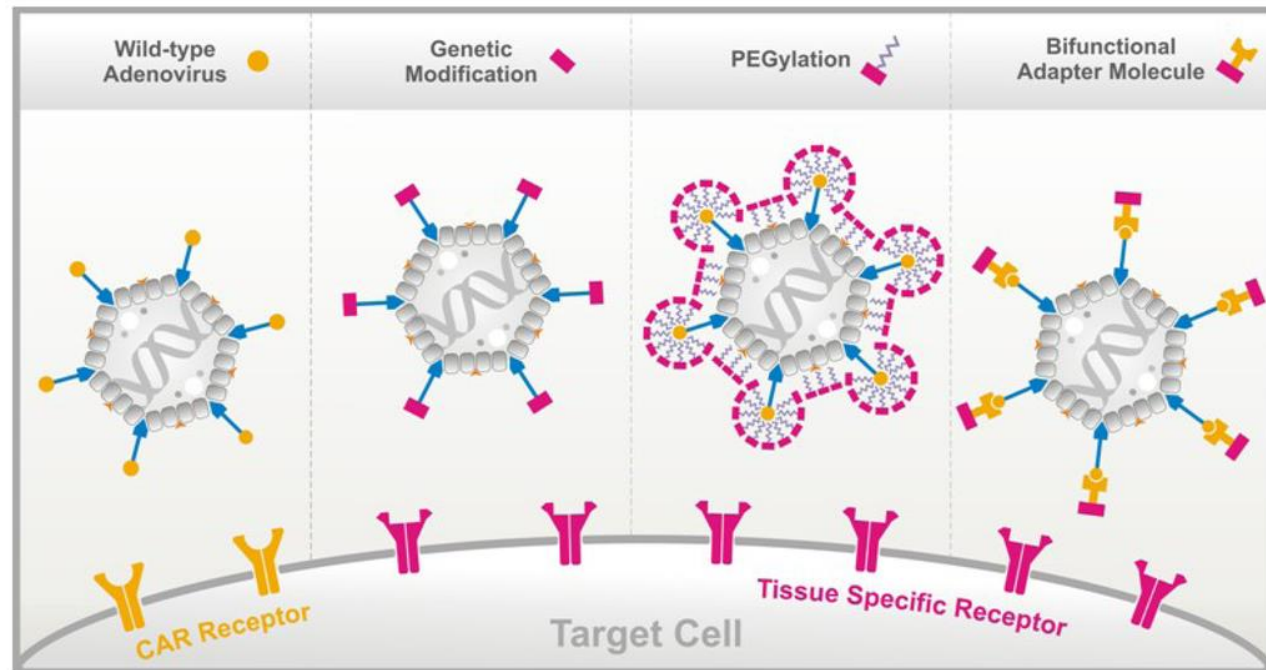




# Adenovirusai



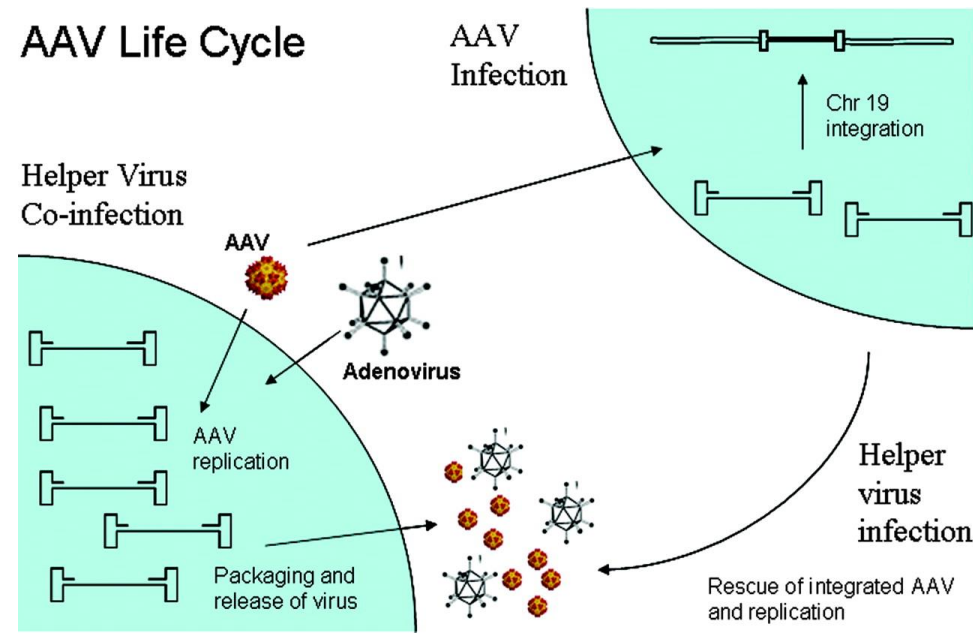
- Adenovirusų genomą sudaro linijinė dvigrandė DNR. Šie virusai žmonėms sukelia kvėpavimo, žarnyno ir akių infekcijas.



# Adeno-asocijuoti virusai



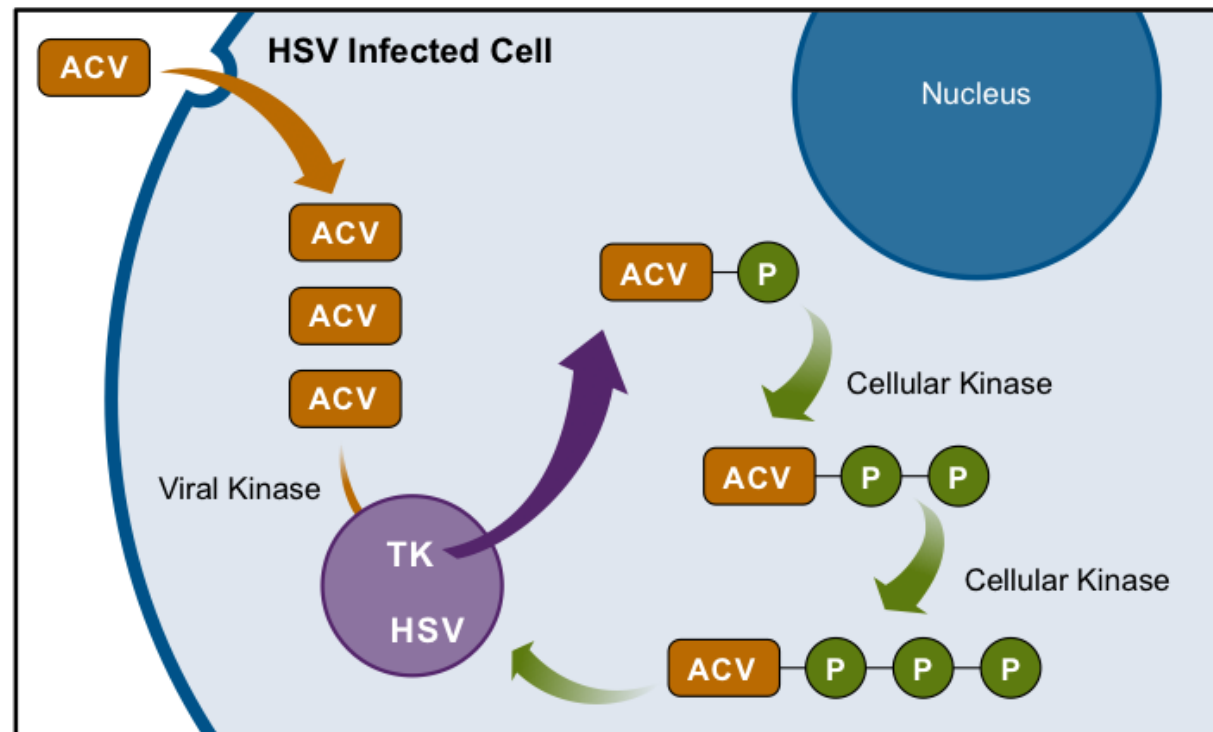
- Tai mažų, viengrandės DNR genomo virusai, galintys įterpti savo genetinę medžiagą 19-os chromosomos specifinėje vietoje, nesukeldamas jokių pastebimų šalutinių reiškinių.



# *Herpes simplex virusai*

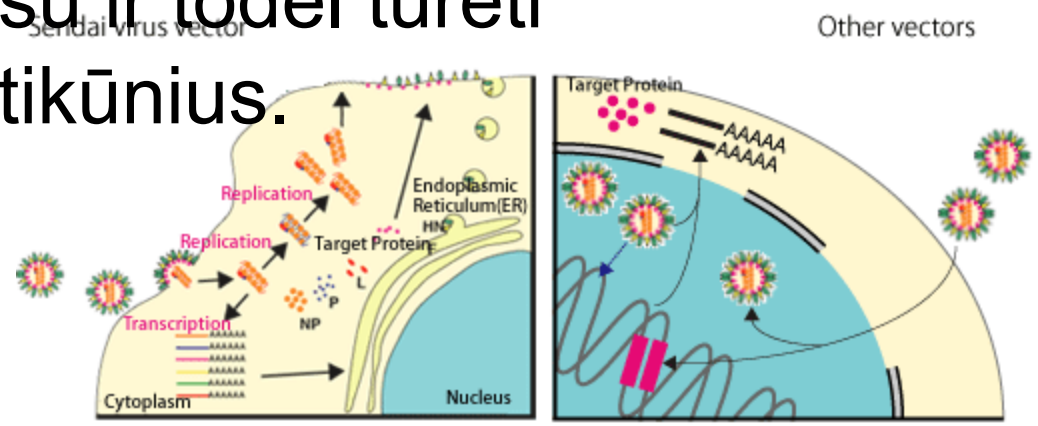


- Tai virusų klasė su dvigrandės DNR genomu, infekuojanti tam tikro tipo ląsteles, neuronus.





- Vienas iš pagrindinių virusinių vektorių trūkumų yra tai, kad visi virusai gali sukelti uždegimą, taigi ir imuninę reakciją, suardančią įterptą geną. Netgi modifikuoti virusai gali sukelti mirtiną pavojų pacientui. Imuninė organizmo reakcija gali riboti pakartotiną to pačio vektoriaus naudojimą. Tai gali būti viena iš problemų platesniam naudojimui, kadangi dalis žmonių populiacijos gali būti jau anksčiau susidūrusi su tuo virusu ir todėl turėti neutralizuojančius antikūnius.



# Ligos, kurios galėtų būti gydomos genų terapija:



Ligos tipas:	gydoma liga:
Kraujo ligos	Siklemija, hemolifija, sunkus kombinuoto imunodeficito sindromas.
Plaučių ligos	Cistinė fibrozė.
Vėžys	Smegenų navikai, krūties vėžys, storosios žarnos vėžys, kiaušidžių vėžys ir kt.
Infekcinės ligos	AIDS, latentinės virusinės infekcijos.
Neurologinės ligos	Duchenne raumenų distrofija, miotoninė raumenų distrofija.



## Išvada:

- Genų terapija – ląstelės genetinės informacijos pakeitimas gydymo tikslais. Svarbus jos aspektas yra specifiškas saugus ir efektyvus genų įterpimas į reikiamas žmogaus organizmo ląsteles. Tam sukuriama vektoriai, dažniausiai virusiniai, iš kurių pašalinus ligą sukeltą komponentą talpinamas rekombinantinis genas. Sukuriama „genetiniai vaistai“, kuriais modeliuojamas norimas efektas.

# Šaltiniai:



- <http://www.vaistai.lt/Genu-terapija-beldziasi-i-Europos-duris-1081.html>
- <http://www.ligos.lt/lt/terminai/genu-gydymas-genu-terapija/909/>
- <http://www.asu.lt/nm/l-projektas/mikroorganizmubio/43.htm>