

Генная терапия человека

Image



## Генная терапия человека

### Что такое гены?

Гены — это небольшие участки ДНК, несущие генетическую информацию и инструкции по созданию белков, которые помогают строить и поддерживать организм. Каждый человек имеет две копии большинства своих генов — по одной от каждого родителя<sup>1</sup>.

Image

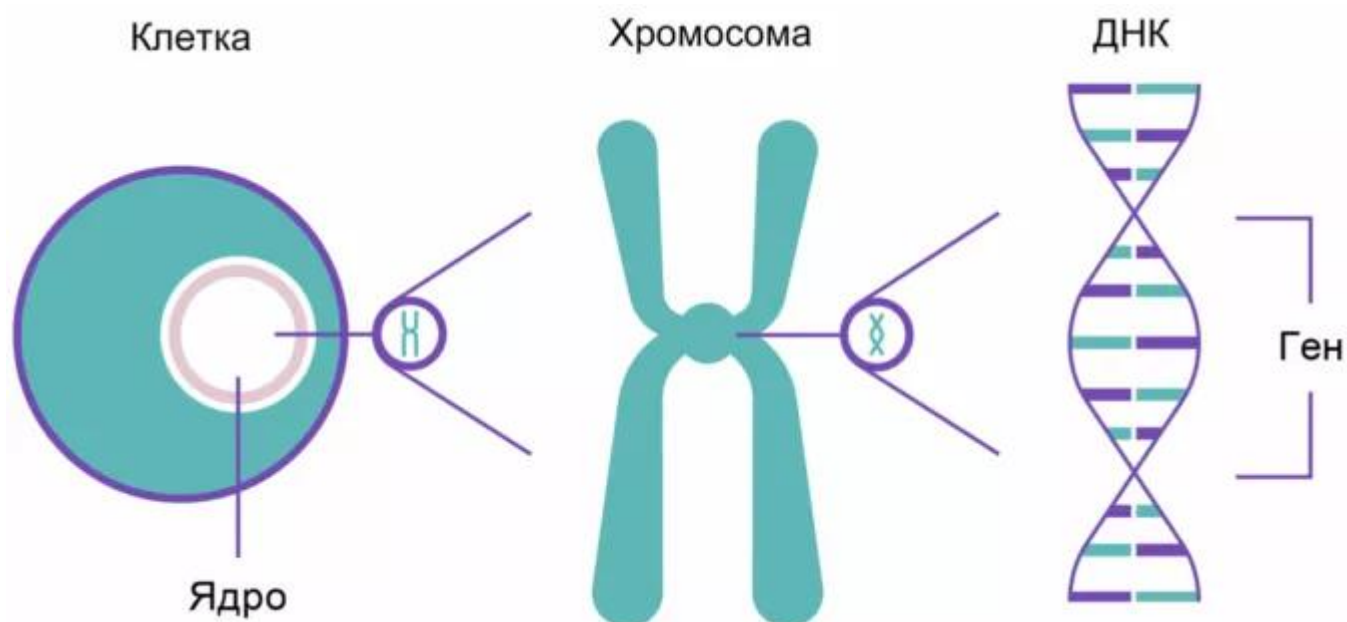


**У каждого человека около**

**20 000 генов**

**Небольшие вариации в генах приводят к различиям во внешности людей и, возможно, в состоянии здоровья<sup>1</sup>.**

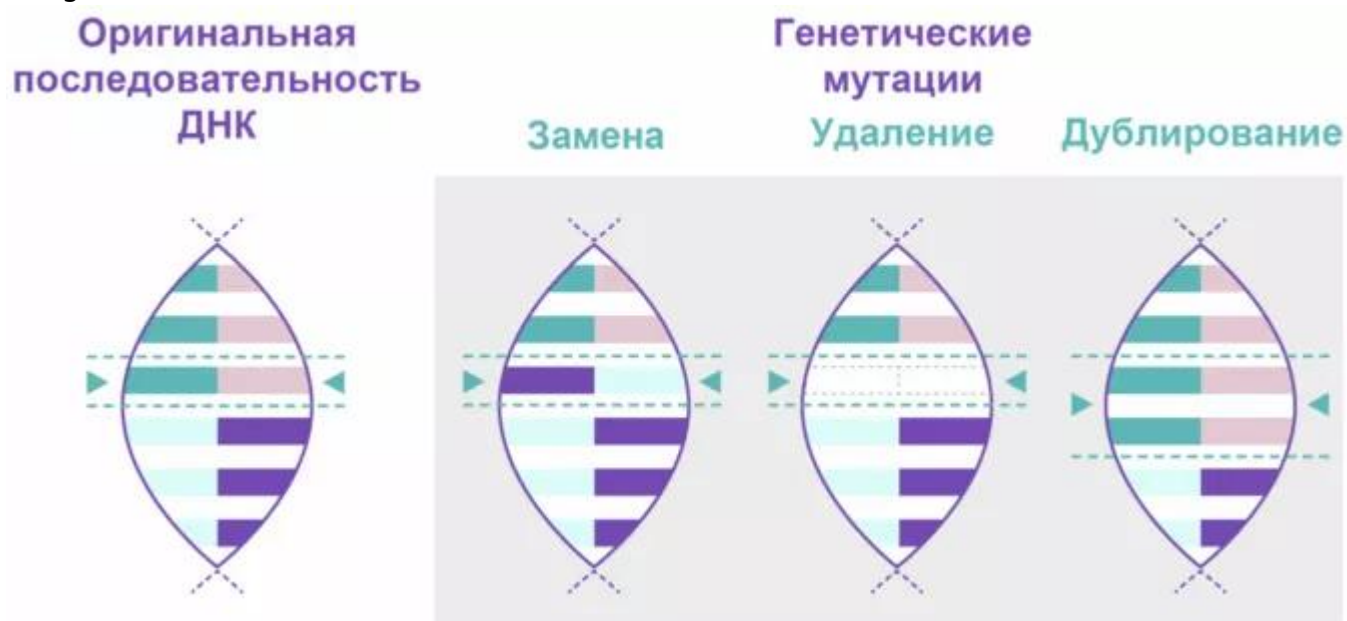
Image



### Что такое генетические заболевания?

Генетические заболевания возникают, когда замещается, удаляется или дублируется критически важный фрагмент или целый участок ДНК<sup>2</sup>. Такие изменения называют генетическими мутациями<sup>3</sup>.

Image



В то время как некоторые мутации безвредны, другие могут вызвать серьезные генетические заболевания, которые передаются будущим поколениям<sup>4</sup>.

Image

### Хорошо известные генетические заболевания<sup>4</sup>:

Image



Муковисцидоз



Гемофилия

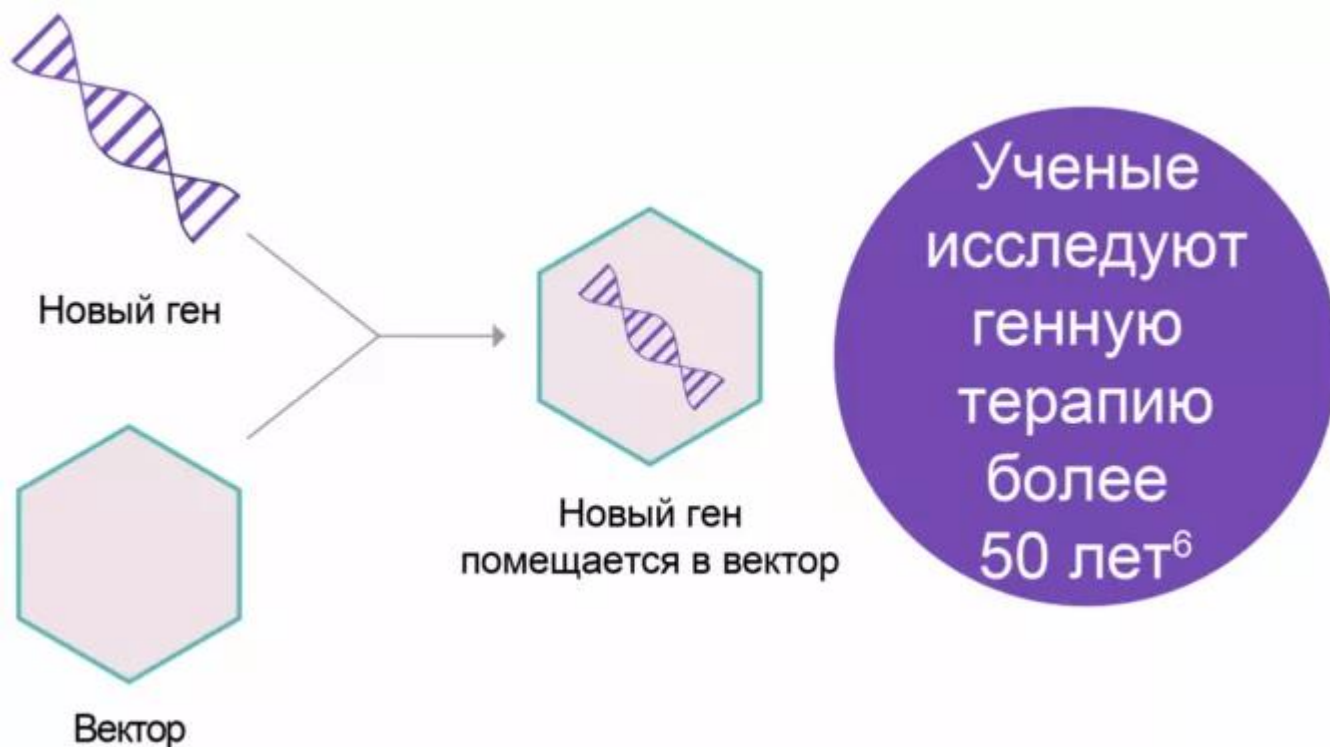


Серповидноклеточная анемия

## Что такое генная терапия?

Генная терапия направлена на лечение или профилактику широкого спектра генетических заболеваний: инактивацию мутировавшего гена, его замену на «здоровую» копию гена или добавление новых, нормально функционирующих копий мутировавших генов. Новые гены попадают в клетки с помощью переносчиков, известных как векторы, которые часто получают из модифицированных, инактивированных вирусов<sup>5</sup>.

Image



Существует два способа проведения генной терапии<sup>5</sup>:

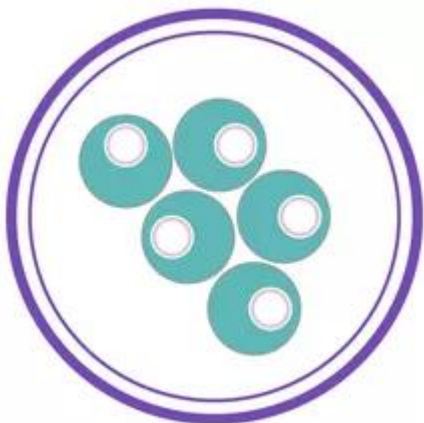
Image



### В чем разница между генной и клеточной терапией?

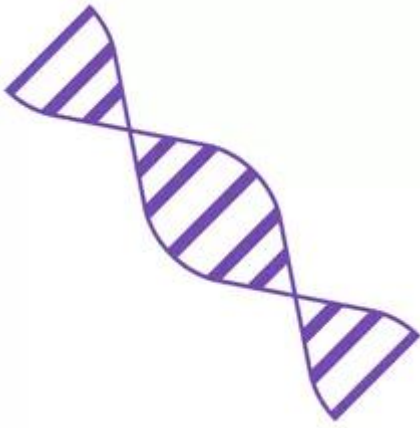
Генная терапия и клеточная терапия — это пересекающиеся области биомедицинских исследований и лечения, но не одно и то же<sup>7</sup>.

Image



Клеточная терапия направлена на лечение заболеваний путем восстановления или наращивания объема пулов клеток определенного типа, либо путем введения клеток в организм с целью системного воздействия<sup>7</sup>.

Image

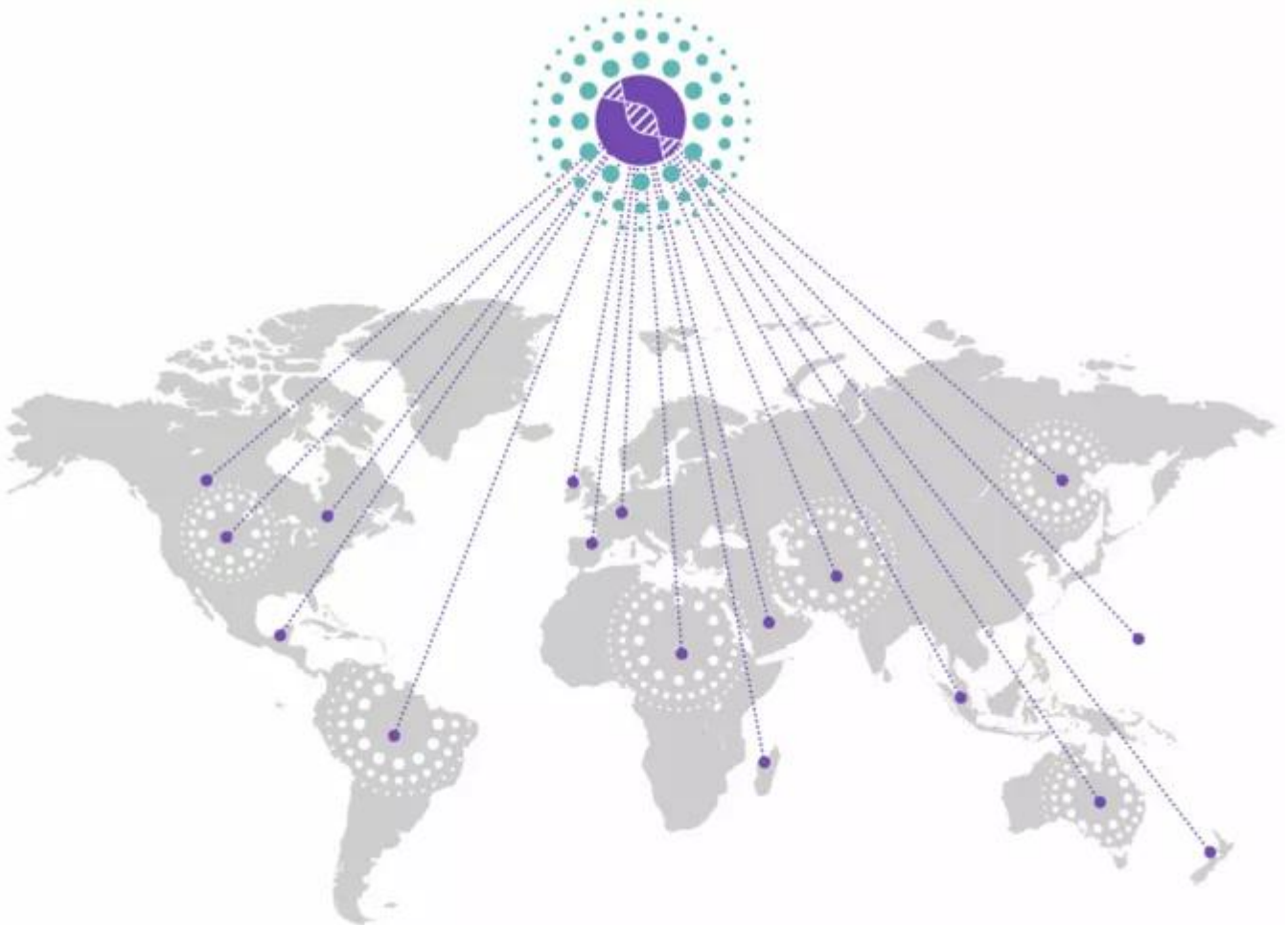


Генная терапия направлена на лечение или профилактику заболеваний путем модификации, восстановления или замены мутировавшего гена<sup>7</sup>.

### Почему важна генная терапия?

Известно, что миллионы людей во всем мире страдают от **более чем 10 000 редких заболеваний**, вызванных мутацией одного гена<sup>4</sup>.

Image



Image

Для этих пациентов генная терапия дает надежду на исцеление от считавшихся ранее неизлечимыми заболеваний в различных медицинских областях<sup>8</sup>:

Image

## Список литературы

1. NIH U.S. National library of medicine. What is a gene?  
<https://medlineplus.gov/genetics/understanding/basics/gene>. [Электронный источник]. Дата доступа: май 2025 г.
2. NIH U.S. National library of medicine. What kinds of gene mutations are possible?  
<https://medlineplus.gov/genetics/understanding/mutationsanddisorders/genemutation>. [Электронный источник]. Дата доступа: май 2025 г.
3. NIH. U.S. National library of medicine. What is a gene mutation and how do mutations occur?  
<https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>. [Электронный источник]. Дата доступа: май 2025 г.
4. WHO. Genes and human disease.  
[https://www.who.int/health-topics/genomics#tab=tab\\_1](https://www.who.int/health-topics/genomics#tab=tab_1). [Электронный источник]. Дата доступа: май 2025 г.

5. High KA. The Jeremiah Metzger Lecture: Gene Therapy for Inherited Disorders: From Christmas Disease to Leber's Amaurosis. Transactions of the American Clinical and Climatological Association. 2009; 120: 331-359.
6. Friedman T. A brief history of gene therapy. Nature Genetics. 1992; 2: 93-98.
7. American Society of Gene & Cell Therapy. Gene and cell therapy designed. <https://www.asgct.org/education/more-resources/gene-and-cell-therapy-faqs>. [Электронный источник]. Дата доступа: май 2025 г.
8. O'Reilly M, Kohn DB, Bartlett J, et al. Gene Therapy for Rare Diseases: Summary of a National Institutes of Health Workshop, September 13, 2012. Human Gene Therapy. 2013; 24(4): 355-362.

11412341/VORNEP/dig/05.25/0

---

## Теги

- Офтальмология
- 

## Source URL:

[https://www.pro.novartis.ru/therapeutic\\_areas/ophtalmology/retinal-diseases/information/hereditary-retinal-dystrophy/gennaya-terapiya](https://www.pro.novartis.ru/therapeutic_areas/ophtalmology/retinal-diseases/information/hereditary-retinal-dystrophy/gennaya-terapiya)