

**Прилуцький С.П.**

*магістр,*

*Мелітопольський державний педагогічний університет  
імені Богдана Хмельницького*

## **ГЕНЕТИЧНА ТЕРАПІЯ ТА ПЕРСПЕКТИВИ ЇЇ ВИКОРИСТАННЯ У МОЛЕКУЛЯРНО-ГЕНЕТИЧНИХ ПРОЦЕСАХ ДОСЛІДЖЕННЯ**

Генетична терапія, як і клітинна терапія є актуальною на сьогоднішній день технологією, яка поступово вживається в медичному житті для проведення терапевтичних заходів пацієнтів, але як і клітинна терапія є явищем не дослідженим та поступово знаходиться в стадії розробки та інноваційних досліджень.

Актуальність даної технології використання у медичній системі є те, що вона уявляє собою лікування людини на генетичному рівні, виправлення пошкоджених внаслідок мутаційних процесів ділянок молекули ДНК живого організму, чи змусити виконати клітини новітні функції. Тобто, генотерапія передбачає собою техніку викликання штучного репаративного синтезу ДНК [1, с. 2–3].

Дослідження в галузях генетичної інженерії, а саме розробки в технологіях генетичної терапії поставе питання про можливість подолання навіть найнебезпечніші та невиліковні хвороби, які наразі відомі науці, що є важливим внеском у біотехнологічні та медичні напрями розвитку світової науки та техніки, але на сьогоднішній день, як ми вже зазначили відомості про використання даного методу у сучасній медицині дуже малий, технологія знаходиться на стадії розробки та досліджень, про те дещо все ж таки відомо.

Історія досліджень поєднується з традиційними розробками у генетичній терапії, які почалися в кінці ХХ сторіччя у США, оскільки дана технологія в медицині є дуже молодою. Коли розроблялися нові методики використання даної технології в плані відновлення помилок у іРНК певного порушеного гену. Таким же чином розроблялися по даній методіці шляхи лікування певних видів хвороб, зокрема деяких видів онкологічних захворювань. Дослідники з США також зробили неможливе, що вважалося на той час: вони розробили методику, які дозволяють переносити певними ліпосомами, ту саму молекулу ДНК терапевтичного призначення у ядро клітини. Але траплялися і безуспішні випадки у кінці 80-их років ХХ сторіччя вчені з США намагалися випробувати метод генетичної терапії на людині, а саме на пацієнті з

меланою, про те експеримент завершився не вдачею. Яким же ж самим чином вчені намагалися втілити такий план у життя?

Вони застосували методіку клонування генів та транспортування їх у еукаріотичні людські клітини. Також по цій методиці американські вчені намагалися провести експеримент на пацієнту, який страждав хворобою важкого комбінованого імунodefіциту. В результаті якого лейкоцити виконували свої функції протягом чотирьох років, але згодом припинили свої функціональні дії. Після вдосконалення методів генетичної терапії при лікуванні комбінованого імунodefіциту на сьогоднішній день активно використовується для лікування дітей з даною хворобою [2, с. 150].

Як ми вже зазначили, що епіцентром традиційних і навіть новітніх розробок на сьогоднішній день є США. Один з найбільш ефективних закладів, який займається розробками генетичної терапії є Каліфорнійський університет і він тим самим у 2003 році робить відкриття з пересадки генів у нейрони головного мозку. Раніше це здавалося не можливим, оскільки розміри ліпосом – завдяки, яким вдалося зробити дану пересадку дуже великий, як для нейронних клітин. Про те вдалося зменшити їх розмір. Тим самим завдяки цьому відкриттю дозволили застосовувати технологію генетичної терапії проти хвороби Паркінсона, якою переважно страждають люди похилого віку [3, с. 25].

Тепер хочу детально сконцентрувати вашу увагу на використанні генетичної терапії проти боротьби з онкологічними захворюваннями. В даній гільці дослідження відзначилися вчені Європи та США, тож як їм це вдалося?

Суть боротьби з раком через генетичну терапію ведеться через Т-кілери, які були спеціально генетично змінені. Подібне відкриття було протестоване на двох хворих, які страждали меланою. Тоді були проведені дослідження про процес обдурення імунної системи живого організму тестуючи генно-модифіковані клітини, імунна система розпізнавала генетично модифіковані клітини, як чужорідні агенти, тим самим за допомогою мікроРНК вчені змогли ввести в оману імунну систему пацієнта, тим самим зробивши прорив у лікуванні гемофілії [3, с. 40].

Англійські вчені поступово також робили певні дослідження та прориви в області використання генотерапії, вони використовували аденовірус з модифікованим геномом для боротьби у новонародженого пацієнта з хворобою, яка називається амавроза Лебера, що стало значним поштовхом у поступовому входженні технології генотерапії у світову медицину. Важливим фактором є те, що при використанні даного новітнього методу лікування генотерапією не було виявлено побічних ефектів на відміну від американських колег, де при дослідженнях методу були невдачі у лікуванні пацієнта з імунodefіцитом [3, с. 42].

Згодом генотерапія стала активно використовуватися при лікуванні пацієнтів, які є хворими на СНІД. Дослідження на пацюках показали дуже ефективні результати у дослідженні цієї галузі розвитку техніки та методології використання генної інженерії у сучасній медицині. Наразі ведуться активні дослідження про втілення подібного методу терапії у можливості активного використання на пацієнтах [3, с. 56].

Про те, людина не єдина істота, яка має можливість отримати шанс на життя від невиліковних хвороб. У статтях західних вчених були опубліковані результати про успішного використання технології генетичної терапії на собаках зі хворобою ахроматопсії. На думку авторів даного відкриття, дана хвороба – є повною колірною сліпотою, тому за результатами ряду експериментів зір було відновлено за рахунок конусоподібних фоторецепторів, тобто не могла функціонувати кольорова зорова пам'ять. Але за допомогою технології генетичної терапії, дана функція була відновлена на генетичному рівні. Була певна проблема про те, що дана методика була менш ефективна проти осіб похилого віку.

Щодо новітніх технологій у галузі лікування методами генетичної терапії, вони у більшій мірі вже були озвучені. Про те, є відкриття у сфері генної інженерії, які відбулися не так давно.

Дане відкриття було пов'язано з клітинною терапією та стовбуровими клітинами, що доводить факт неможливості існування двох методик без одне одного, оскільки є взаємопов'язані. А тепер проговоримо про це більш детально.

У США пацієнт був вилікований від невилікової хвороби, він був уражений ВІЛ-вірусом, тим самим хворів на СНІД. Шляхом трансплантації особливих стовбурових клітин, з особливими мутаціями, яка змусила відключити роботу певного рецептору під назвою CCR5. Подібне лікування було абсолютно виснажливою роботою, оскільки вимагали абсолютного видалення кісткового мозку [4, с. 100].

Тому, подібні методи лікування світова медицина не сприймала, як ефективні або діючі та потребували велику кількість часу та фінансових затрат. Серед новітніх досліджень у даній галузі народилися і методи використання генетичної терапії на пацієнтах. На сьогоднішній день розробляються новітні препарати на основах нуклеїнових кислот, а саме ферменти РНК, модифіковані олігонуклеотиди, які здатні корегувати генетичні мутації в організмі живих істот. Про те використання методів терапевтичних генетичних заходів активно використовуються на тільки на людині, ай на інших ссавців. Реакції на введення нуклеофільних препаратів дозволяє проводити активні та новітні дослідження у галузі генетичної терапії с поступовим вдосконаленням методик їх використання. Але загалом використовують декілька основних методів на

сьогоднішній день генетичної терапії: це фетальна терапія та терапія соматичних клітин.

Фетальна терапія уявляє собою процес введення ДНК у зиготу у ембріональному процесі онтогенезу, при цьому розраховується, що під час введення чужорідної модифікованої ДНК – вона потрапить у всі клітини ембріону під час його онтогенетичного процесу, тим самим забезпечить передачу вже модифікованих клітин та генетичної інформації наступному поколінню досліджуваного суб'єкта. Соматична ж генотерапія уявляє собою процес введення модифікованої ДНК або іншої нуклеїнової кислоти у соматичні клітини, які не здатні здійснювати вплив на статеву систему та на генетичну інформацію суб'єкта. Тобто своїми словами кажучи, вплив на потомство суб'єкта, який лікувався за рахунок методів генетичної терапії соматичного типу відбуватися не буде [4, с. 79].

Отже за результатами досліджень у другому розділі можна зробити певні висновки, генетична терапія – це молодий науковий напрям у біотехнологіях, який тільки продовжує розвиватися у використанні в світовій медицині. Але є до сих пір перспективним напрямом у біологічних та медичних науках. Проведені дослідження, щодо історичного розвитку даного напрямку – дозволили поступово сприяти розвитку науки та техніки у XXI сторіччі.

### Список використаних джерел:

1. Буркова І.В Інновації генної терапії в онкології. *Світогляд*. 2017. № 2(64). С. 5.
2. Великий В.М Медична біотехнологія: генна терапія : *збірник тез доповідей Міжнародної науково-практичної конференції, присвяченої 5-річчю заснування кафедри біотехнології НАУ, м. Київ, 21-22 жовтня 2010 р.*, Національний авіаційний університет / редкол. К.Г. Гаркава, Е.М. Попова та ін. Київ : Вид-во «Мегапринт», 2010. 151 с.
3. Карпов О.В., Демидов С.В., Кир'яченко С.С. Клітинна та генна інженерія : підруч. Київ : Фітосоціоцентр, 2010. 208 с.
4. Кордюм В.А. Генотерапія атеросклерозу. *Теоретична медицина*. 2014. № 10. № 2. С. 121.