

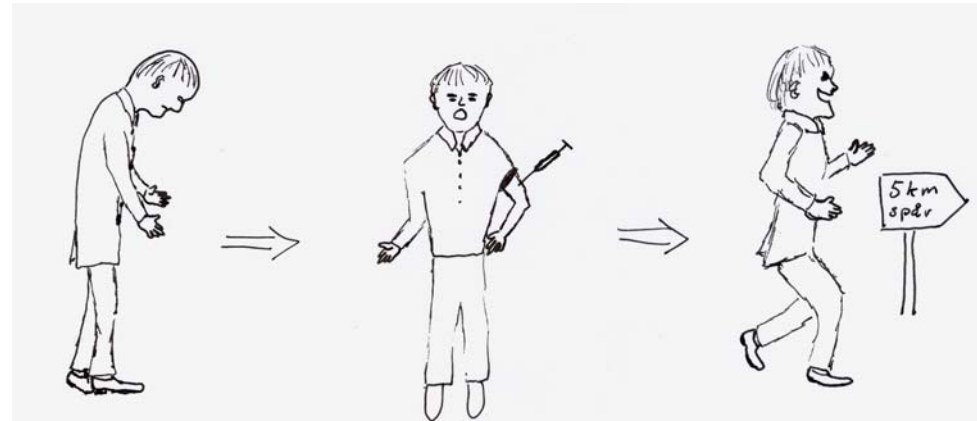
Genterapi

Genterapi

Ersättning av defekt gen med en fungerande

Genterapi

- Genterapi ska fungera som en "gentransplantation"
- Första försöken gjordes på 1990-talet.
- Fick enorm publicitet – "wounder drug".
- Enkelt i teorin men har visat sig svårare i praktiken.
- Än så länge "mycket snack och lite hockey".



Typer av genterapi

- somatisk genterapi
- zygotisk genterapi

Somatisk genterapi

- Genterapi på icke könsceller.
- De insatta generna kan inte överföras till nästa generation.

Somatisk genterapi

Bildlänk:

http://images.google.se/imgres?imgurl=http://ghr.nlm.nih.gov/dynamicImages/unders tandGenetics/gene_therapy/gene_therapy.jpg&imgrefurl=http://ghr.nlm.nih.gov/info% 3Dgene_therapy/show/procedures&h=371&w=495&sz=56&tbnid=Km7bD- fMz7jaFM:&tbnh=95&tbnw=127&hl=sv&start=1&prev=/images%3Fq%3Dgene%2Bth erapy%26svnum%3D10%26hl%3Dsv%26lr%3D

Somatisk genterapi

- **Retroviruses** - A class of viruses that can create double-stranded DNA copies of their RNA genomes. These copies of its genome can be integrated into the chromosomes of host cells. Human immunodeficiency virus (HIV) is a retrovirus.
- **Adenoviruses** - A class of viruses with double-stranded DNA genomes that cause respiratory, intestinal, and eye infections in humans. The virus that causes the common cold is an adenovirus.
- **Adeno-associated viruses** - A class of small, single-stranded DNA viruses that can insert their genetic material at a specific site on chromosome 19.
- **Herpes simplex viruses** - A class of double-stranded DNA viruses that infect a particular cell type, neurons. Herpes simplex virus type 1 is a common human pathogen that causes cold sores.
- Introduktion av genetiskt material i form av naket DNA. Går i bara i vissa vävnader och kräver mycket DNA.
- Artificiell 47:e kromosom. Svårt att få in så stora DNA molekyler i cellkärnan. Bara i forskningstadiet ännu.

Somatisk genterapi

- En normal gen sätts in någonstans i genomet för att ersätta en defektgen. Detta är det sätt man arbetar med idag.
- Tar ut celler med defekta gener och muterar genen så att den blir funktionell och sätter sedan tillbaka cellerna.
- Förändrar regulatoriska sekvenser före en gen (+/-)

Problem med somatisk genterapi

- Effekten har varit kortvarig. Cellerna som tagit upp DNA har varit få och de har delat sig snabbt och sedan dött. Genterapin måste upprepas.
- Problem med virusvektorn. Immurespons mot virusvektorn (har dödat minst en försöksperson i USA). Farhågor att viruset kan revertera till virulent form.
- Effektivast mot sjukdomar som beror på förändringar i en gen. Många sjukdomar beror på förändringar i fler än ett anlag.
- Risk att det DNA som introduceras sätter sig på fel ställe. Hamnar i del av DNA som inte avläses (ingen effekt). Slår ut viktig gen eller regulatorisk sekvens. Finns exempel från Frankrike där man behandlade immunbrist sjukdomen SCID där genterapin orsakade leukemi. Genen satte sig i ett regulatoriskt segment som förhindrar leukemi.

Zygotisk genterapi

- Tillföra gener som går i arv till nästa generation.
- Genterapi på könsceller.
- Inte tillåtet i Sverige.
- Tekniskt mycket svårt. Vet för lite om vad olika gener har för funktion under olika utvecklingsstadier.

Genterapins baksida

- Gendoping. Sätta in gener för tillväxthormon (ökad muskelmassa) eller extra EPO-gen (ökad syreupptagningsförmåga).

<http://www.sciencenews.org/articles/20041030/bob9.asp>

- Misstankar om att de första gendopade idrottsmännen dyker upp i sommar OS 2008