

Гендік терапия және медицинадағы қолданылуы

СНЕ9131 ДНҚ технологиялары · 6B05105 Биотехнология

14-апта · Жаниязов Ж.А., аға оқытушы

Дәріс жоспары

- Гендік терапияның мәні
- Ex vivo және in vivo тәсілдері
- Векторлар
- Клиникалық жетістіктер, CAR-T
- Тәуекелдер және клиникалық жағдайды талдау

14 / 15

апта • гендік терапия

Гендік терапия дегеніміз не?

- Терапиялық генді науқас жасушасына енгізу немесе гендік өрнекті өзгерту арқылы емдеу
- Соматикалық терапия тек науқасқа әсер етеді
- Герминалды терапия ұрпаққа берілуі мүмкін, сондықтан шектеледі

2 тәсіл

ex vivo және in vivo

Ex vivo және in vivo

Белгі	Ex vivo	In vivo
Түзету	ағзадан тыс	ағза ішінде
Тасымалдау	жасуша қайта енгізіледі	вектор тікелей енгізіледі
Мысал	CAR-T, CD34+ жасушалар	AAV арқылы көз, бауыр

Гендік терапия векторлары

AAV

Қауіпсіз, салыстырмалы түрде аз иммундық жауап, сыйымдылығы шамамен 4,7 мың н.

Лентивирус

Геномға интеграцияланады: ұзақ әсер

Аденовирус

Қуатты, бірақ күшті иммундық жауап береді

Липидті нанобөлшек

Вирустық емес тасымалдау

Даму кезеңдері

Жыл	Оқиға
1990	ADA-SCID емдеуге алғашқы клиникалық сынақ
1999	Дж. Гелсингер қазасы: қауіпсіздік талаптары күшейді
2012	Glybera (EO): алғашқы мақұлданған гендік терапия
2017	Luxturna және алғашқы CAR-T (Kymriah) мақұлданды
2023	Орақ жасушалы анемияға CRISPR-терапия (Casgevy)

CAR-T терапиясы

- Науқастың Т-жасушалары алынады
- Оларға химерлі антигендік рецептор (CAR) гені енгізіледі
- Жасушалар көбейтіліп, науқасқа қайта құйылады
- В-жасушалы лейкоз бен лимфомада қолданылады

CAR-T

ісікке бағытталған Т-
жасушалар

Тәуекелдер мен шектеулер

Иммундық жауап

Векторға қарсы реакция

Инсерциялық мутагенез

Интеграция онкогенді іске қосуы мүмкін

Құны

Бір емнің бағасы өте жоғары

Жеткізу

Барлық тінге вектор жеткізу қиын

Клиникалық жағдайды талдау



ПР №14: осы схемамен нақты клиникалық жағдайды талдаңыз.

Қорытынды және бақылау сұрақтары

- Ex vivo мен in vivo терапияның айырмасы қандай?
- AAV вектордың артықшылығы неде?
- CAR-T қалай жасалады?
- Тапсырма: ПР №14, топтық жоба

121–129

бет • [2] Green, Sambrook