

18. GEN TERAPİSİ

18. GENE THERAPY

Prof. Dr. Adnan Yüksel

GEN TERAPİSİ

Prof. Dr. Adnan Yüksel
Biruni Üniversitesi

Özet

Gen terapisi, normal fonksiyonunu yapmayan, eksik veya hatalı protein üretimine neden olan bir geni düzeltmek amacıyla DNA veya RNA moleküllerinin, insan hücre, organ veya dokularına transfer işlemidir. Günümüzde kalıtsal hastalıkların ve kanser, enfeksiyon gibi edinsel hastalıkların tedavisinde, gen terapisi, gen düzenleme ve gen susturma gibi moleküler teknikler kullanılmaktadır. Gen terapisi alanında uzun yıllardan beri devam eden çalışmalar son zamanlarda moleküler genetik alanındaki ilerlemelerle önemli gelişmelere neden olmuştur. Gen terapide en önemli başarı, istenen fonksiyonu sağlamak amacıyla oluşturulan gen dizisinin hücre içine verilmesi için spesifik viral vektörlerin, plazmidlerin, nanopartiküllerin, mikroRNA'ların istenilen şekilde tasarlanmasının mümkün hale gelmiş olmasıdır. Başarılı bir vektör, DNA parçasını uygun bir şekilde, az toksisite ile hedef hücrelere ulaştırabilmektedir.

Anahtar Kelimeler

Duchenne müsküler distrofi, Gen terapi, Gen terapisi, Spinal müsküler atrofi, Viral vektörler

GENE THERAPY

Abstract

Gene therapy is the process of transferring DNA or RNA molecules into human cells, organs or tissues in order to correct a gene that does not function normally and causes missing or faulty protein production. Today, molecular techniques such as gene therapy, gene editing and gene silencing are used in the treatment of hereditary diseases and acquired diseases such as cancer and infection. Continuing studies in the field of gene therapy for many years have led to significant developments in recent years with advances in the field of molecular genetics. The most important achievement in gene therapy is that it has become possible to design specific viral vectors, plasmids, nanoparticles, and microRNAs as desired to deliver the gene sequence created to provide the desired function into the cell. A successful vector can deliver the DNA fragment conveniently to target cells with little toxicity.

Keywords

Duchenne muscular dystrophy, Gene therapy, Gene treatment, Spinal muscular atrophy, Viral vectors