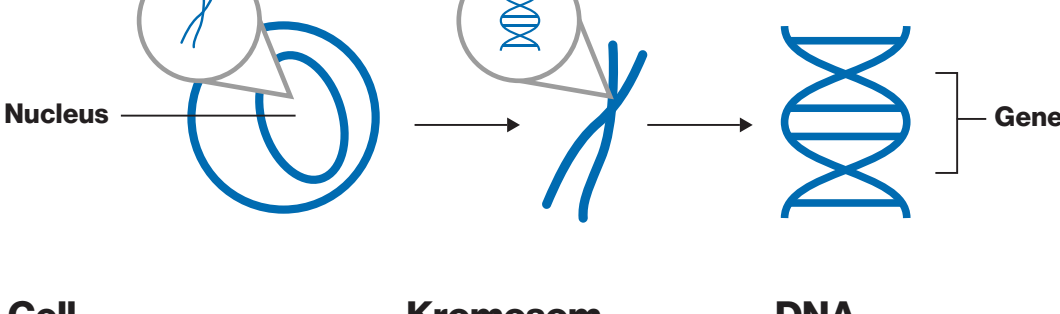


Hvad er celle- og genterapi?

Celler er de grundlæggende byggesten for alle levende organismer, og generne findes dybt inde i cellerne. Gener er små DNA-sektioner, der rummer genetisk information og instruktioner med henblik på at udvikle protein, der hjælper med at opbygge og vedligeholde kroppen¹.

Gener udgør en del af DNA¹:



Cell

Kernen styrer cellens processer

Kromosom

Kromosomer er trådformede strukturer af DNA, der er vikles adskillige gange omkring proteiner kaldet histoner

DNA



ETHVERT MENNESKER HAR

20.000

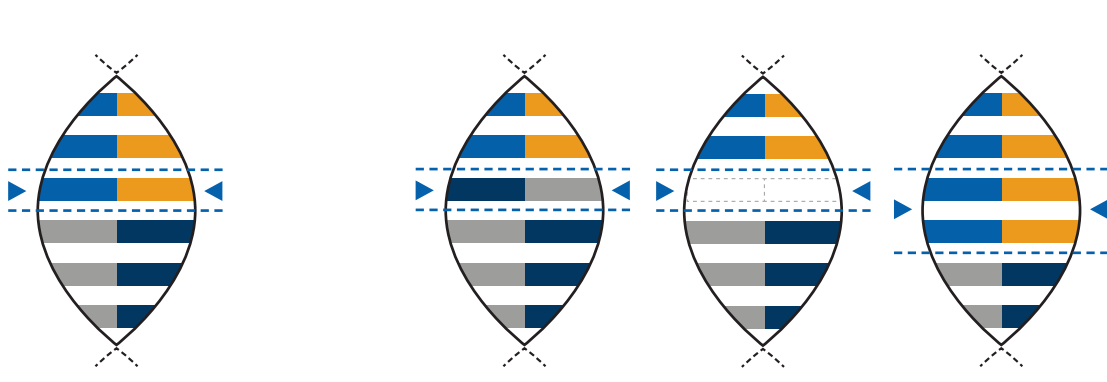
GENER OG TO KOPIER AF DET ENKELTE GEN! ÉN FRA HVER FORÆLDER.

Små variationer i generne medfører forskelle i menneskers udseende og potentielt deres helbred¹.

Hvad er genetiske sygdomme?

Genetiske sygdomme opstår, når en kritisk del eller en hel sektion af DNA bliver erstattet, slettet eller duplikeret². Disse forandringer kaldes for genetiske mutationer³.

Mutationer kan forårsage genetiske sygdomme²:



Original DNA Sekvens

Genetiske mutationer

Substitution

Sletning

Duplikering

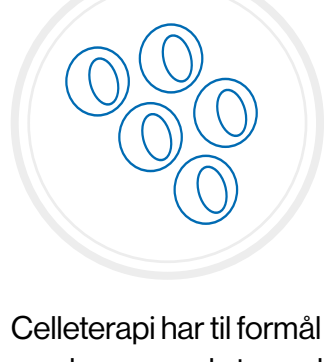


Nogle alvorlige genetiske sygdomme forårsaget af mutationer kan gives videre til kommende generationer⁴.

Hvorledes kan celle- og genterapier hjælpe med at behandle genetiske sygdomme?

Celleterapi og genterapi er områder inden for biomedicinsk forskning og behandling, der overlapper hinanden⁵. Begge terapier har til formål at behandle, forebygge eller potentielt helbrede sygdomme, og beggemetoder har potentiale til at lindre underliggende årsager til genetiske sygdomme og sygdomme, som mennesker erhverver sig⁶. Mencele- og genterapi virker forskelligt.

Forskellen mellem celleterapi og genterapi:



Celleterapi har til formål at behandle sygdomme ved at genskabe eller forandre bestemte sæt af celler eller ved at benytte celler til at føre en behandling rundt i kroppen⁵. Ved celleterapi dyrkes eller modificeres cellerne uden for kroppen, før de indsprøjtes i patienten. Cellerne kan stamme fra patienten selv (autologe celler) eller fra en donor (allogene celler)⁶.



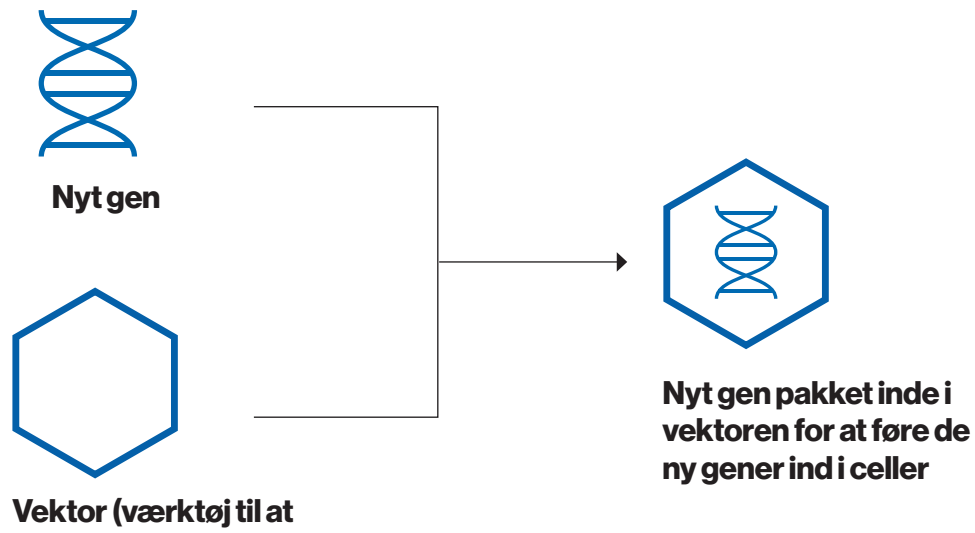
Genterapi har til formål at behandle sygdomme ved at erstatte, inaktivere eller indføre gener i celler – enten inde i kroppen (in vivo) eller uden for kroppen (ex vivo)⁶.

Nogle terapier betragtes som både celle- og genbehandlinger. Disse terapier fungerer ved at ændre generne i specifikke typer celler og indføre dem i kroppen.

Hvordan udnytter vi celle- og genterapi

Videnskaben har forsket i genterapi gennem mere end 50 år⁵. I dag føres de nye ny gener ind i celler ved hjælp af transportører kaldet vektorer, der fremstilles af modificerede, inaktiverede virusser, der ikke er sygdomsfremkaldende⁶.

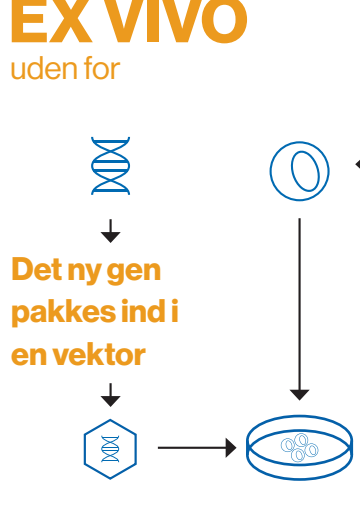
Pakning af de ny gener:



Når det ny gen er pakket, kan det indføres på to måder – ex vivo eller in vivo

EX VIVO

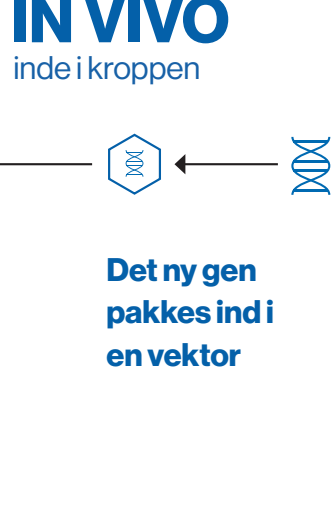
uden for



Gener eller celler modificeres eller udskiftes uden for kroppen og returneres derefter til patienten

IN VIVO

inde i kroppen



Gener eller celler indsættes eller forandres direkte inde i patientens krop

Hvorfor er celle- og genterapi vigtig?

Det anslås, at mere end millioner mennesker på verdensplan dør med mere end 10.000 sjældne sygdomme, der skyldes mutationer af enkelte gener⁴. For disse patienter indebærer celle- og genterapi håb og potentielt behandlinger for hidtil uhelbredelige og vanskeligt helbredelige sygdomme inden for en bred vifte af lægefaglige specialer⁷.



10.000

SJÆLDNE SYGDOMME VERDEN OVER ER FORÅRSAGET AF MUTATION AF ÉT ENKELT GEN⁴.

Celle- og genterapi giver håb i forhold til en bred vifte af uhelbredelige og vanskeligt helbredelige sygdomme i⁷:

Hæmatologi

Onkologi

Oftalmologi

Neurologi

Kardiologi

Referencer

- National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. Hvad er et gen? Findes på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>. Senest besøgt april 2019.
- National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. Hvilke slags mutationer er mulige? Findes på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>. Senest besøgt april 2019.
- National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. Hvad er en mutation, og hvordan opstår mutationer? Findes på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>. Senest besøgt april 2019.
- World Health Organisation (WHO). Gener og sygdomme hos mennesker. Findes på: <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>. Senest besøgt april 2019.
- Friedman T. A brief history of gene therapy. Nat Genet. 1992; 2: 93-98.
- American Society of Gene & Cell Therapy. Diferent approaches. Findes på: <https://www.asgct.org/education/diferent-approaches>. Senest besøgt april 2019.
- O'Reilly M, Kohn DB, Bartlett J m.fl. Gene therapy for rare diseases: summary of a National Institutes of Health workshop. 13. september 2012. Hum Gene Ther. 2013; 24(4): 355-362.