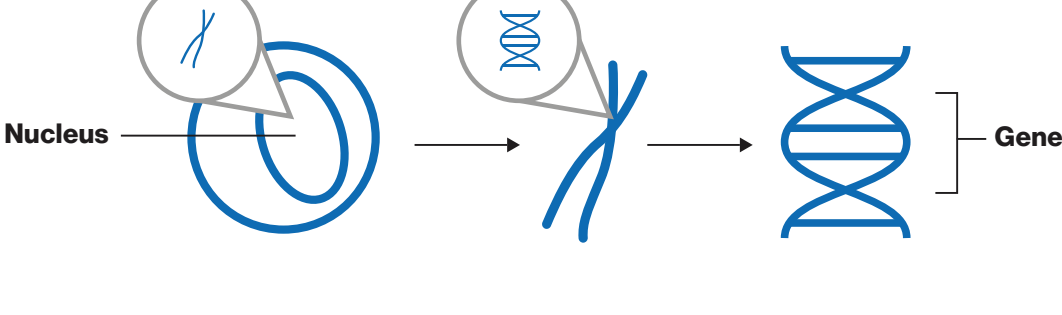


Mitä solu- ja geenihoidot ovat?

Solut ovat kaikkien elollisten olentojen rakennusainetta. Geenit puolestaan sijaitsevat syvällä solujen sisällä. Geenit ovat lyhyitä DNA:n jaksoja, jotka sisältävät tietoa perintötekijöistä sekä kehoa rakentavien ja sen toimintoja ylläpitävien proteiinien rakennusohjeita¹.

Geenit ovat osa DNA:ta¹



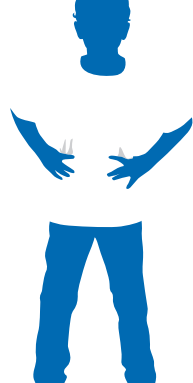
Solu

Tuma ohjaa solun prosesseja

Kromosomi

Kromosomit ovat DNA:sta koostuvia säikeitä, jotka ovat kietoutuneet monin kerroin histori-nimisten proteiinien ympärille.

DNA



JOKAISELLA IHMISELLÄ ON NOIN

20 000

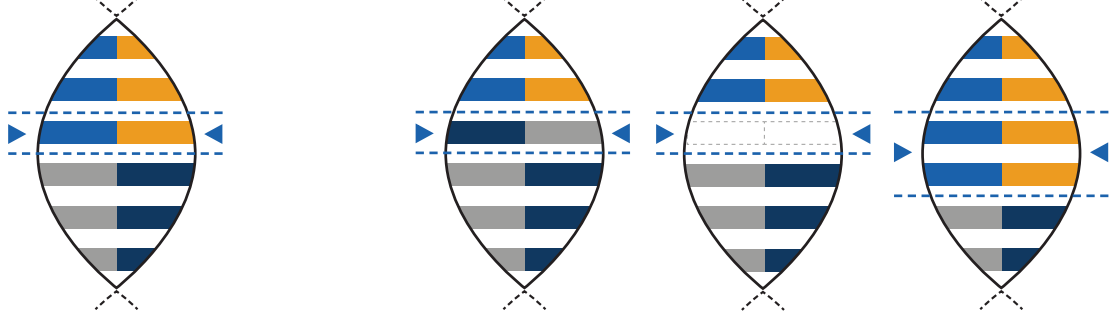
GEENIÄ KAHTENA KAPPALEENA – YKSI KUMMALTAKIN VANHEMMALTA.

Geenien pienten vaihteluiden vuoksi ihmiset ovat erinäköisiä, ja niistä voi aiheutua myös terveyseroja¹.

Mitä geneettiset sairaudet ovat?

Geneettisissä eli perinnöllisissä sairauksissa jokin keskeinen DNA:n osa tai kokonainen DNA-jakso on korvautunut toisella, hävinnyt tai kahdentunut². Näitä muutoksia kutsutaan geenimutaatioiksi³.

Geenimutaatiot voivat aiheuttaa perinnöllisiä sairauksia²



Alkuperäinen DNA-sekvenssi

Geenimutaatiot

Korvautuminen

Häviäminen

Kahdentuminen



Osa geenimutaatioiden aiheuttamista vakavista geneettisistä sairauksista voi periä jälkipolville⁴.

Miten perinnöllisiä sairauksia voidaan hoitaa solu- ja geenihoidoilla?

Solu- ja geenihoidot ovat osin päällekkäisiä biolääketieteen tutkimuksen ja hoitomenetelmien osa-alueita⁵. Molemmilla hoitomuodoilla voidaan hoitaa, ehkäistä ja mahdollisesti jopa parantaa sairauksia. Ne voivat lievittää perinnöllisten ja muiden eli ns. hankinusten sairauksien perussyitä⁶. Solu- ja geenihoidojen periaatteet kuitenkin poikkeavat toisistaan.

Soluhoitojen ja geenihoidojen välinen ero



Soluhoitoissa pyritään hoitamaan sairauksia palauttamalla tai muuttamalla tiettyjä solujoukkoja tai tuomalla hoitavia soluja elimistöön⁶. Soluterapiassa soluja viijellään tai muokataan kehon ulkopuolella ja solut ruiskutetaan sitten potilaaseen. Solut voivat olla peräisin potilaalta itseltään (ns. autologiset solut) tai luovuttajalta (ns. allogeneiset solut)⁶.



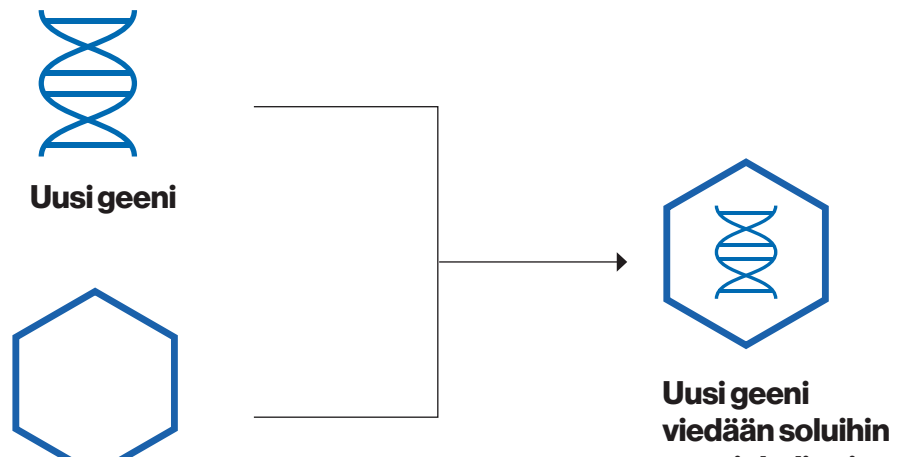
Geenihoidoissa sairauksia pyritään hoitamaan korvaamalla, sammuttamalla tai siirtämällä soluihin geenejä joko kehon sisällä (in vivo) tai sen ulkopuolella (ex vivo)⁶.

Jotkin hoidot voidaan luokitella sekä solu- että geenihoidoiksi. Niissä muokataan tietyn tyyppisten solujen geenejä ja siirretään ne kehoon.

Miten solu- ja geenihoidoja käytetään?

Geeniterapiaa on tutkittu jo yli viisi vuosikymmentä⁵. Nykyisin uusia geenejä siirretään soluihin niin sanottujen vektorien eli geeninkuljettimien avulla. Vektorina toimii usein muokattu, epäaktiivinen virus, joka ei aiheuta sairauksia⁶.

Uusien geenien liittäminen



Uusi geeni



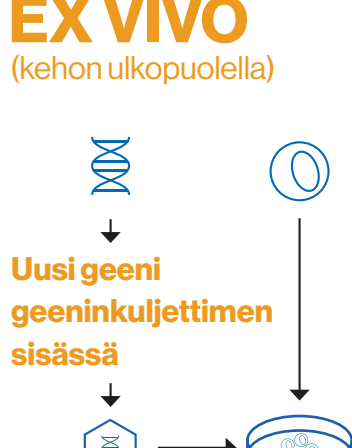
Geeninkuljetin eli vektori, jolla geeni viedään soluihin



Uusi geeni viedään soluihin geeninkuljettimen sisässä

Uusi geeni voidaan siirtää geeninkuljettimella potilaaseen ex vivo tai in vivo

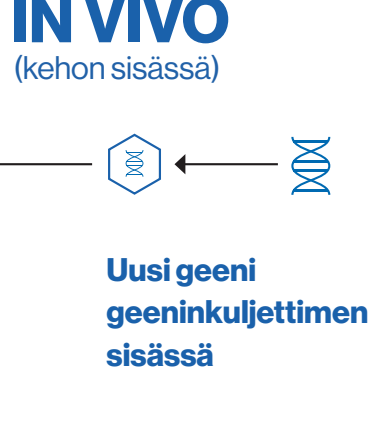
EX VIVO (kehon ulkopuolella)



Uusi geeni geeninkuljettimen sisässä

Geenejä tai soluja muokataan tai korvataan kehon ulkopuolella ja palautetaan sitten potilaaseen

IN VIVO (kehon sisässä)



Uusi geeni geeninkuljettimen sisässä

Geenejä tai soluja siirretään suoraan potilaaseen tai muutetaan kehon sisässä

Miksi solu- ja geenihoidot ovat tärkeitä?

Arvioiden mukaan useita miljoonia ihmisiä maailmassa sairastaa yksittäisen geenin mutaatiomisesta aiheutuvaa sairautta. Tällaisia harvinaisia sairauksia on yli 10 000⁴. Heille solu- ja geeniterapia tuo toivoa ja hoitomahdollisuuksia, sillä monilla lääketieteen osa-alueilla voidaan hoitaa aiemmin parantumattomina pidettyjä tai vaikeahoitoisia sairauksia⁷.



10 000

YKSITTÄISEN GEENIN MUTAATIOITUMINEN AIHEUTTAA HARVINAISIA SAIRAUKSIA KAIKKIALLA MAAILMSSA⁴.

Solu- ja geeniterapia tuo toivoa ja hoitomahdollisuuksia moniin aiemmin hoitamattomiin ja vaikeahoitoisiin sairauksiin⁷



Verisairaudet



Syöpätaudit



Silmätaudit



Neurologia



Sydäntaudit

Lähteet

1. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene? Saatavana osoitteesta <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>. Viitattu huhtikuussa 2019.
2. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What kinds of gene mutations are possible? Saatavana osoitteesta <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>. Viitattu huhtikuussa 2019.
3. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene mutation and how do mutations occur? Saatavana osoitteesta <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>. Viitattu huhtikuussa 2019.
4. World Health Organization. Genes and human diseases. Saatavana osoitteesta <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>. Viitattu huhtikuussa 2019.
5. Friedman T. A brief history of gene therapy. Nat Genet. 1992; 2: 93–98.
6. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. Saatavana osoitteesta <https://www.asgct.org/education/different-approaches>. Viitattu huhtikuussa 2019.
7. O'Reilly M, Kohn DB, Bartlett J, et al. Gene therapy for rare diseases: summary of a National Institutes of Health workshop, 13.9.2012. Hum Gene Ther. 2013; 24(4): 355–362.