

Gen Tedavisi

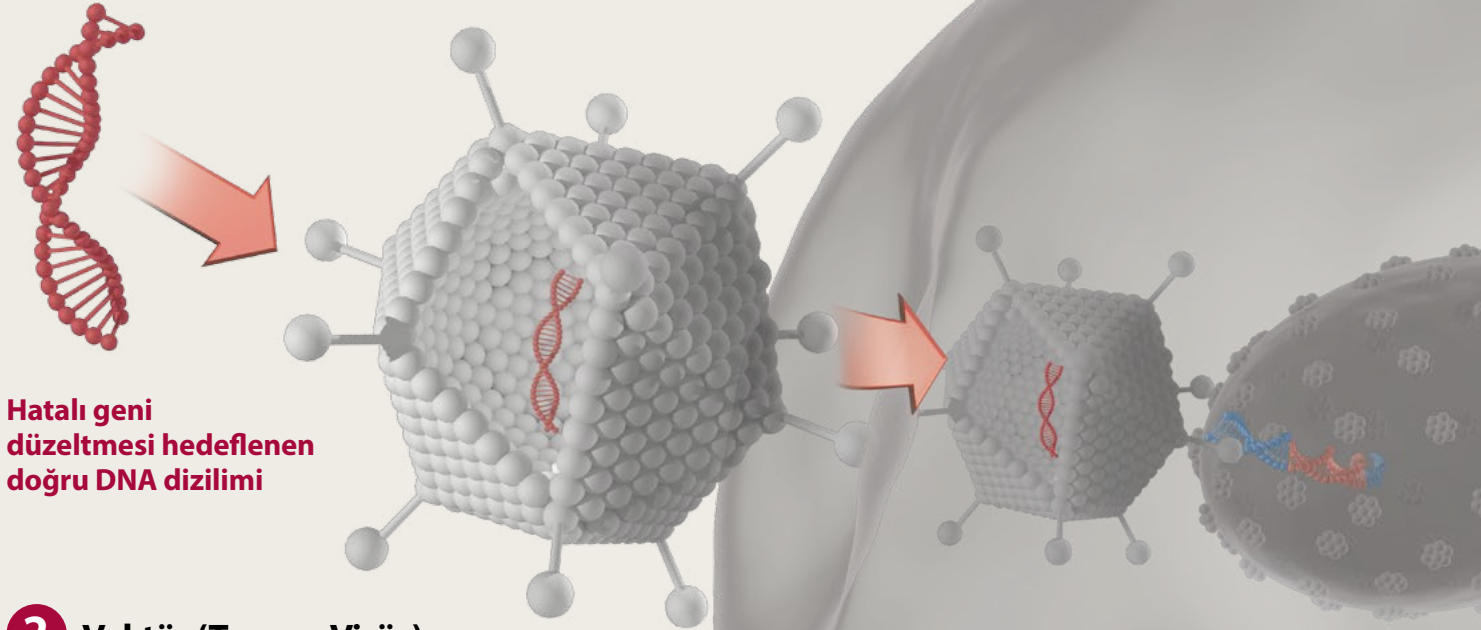
Kalıtsal ve sonradan edinilmiş hastalıkları tedavi etmek ve önlemek için geliştirilen yöntemlerdir. Hastanın belli hücrelerinde, dokularında veya organlarında ilgili hastalığı tedavi etmeye yönelik bir genetik değişiklik yapılır. Bunun için ya hatalı genlerin işlevleri yeniden düzenlenir ya da gen aktarımı yoluyla hatalı genler sağlıklı olanlarla değiştirilir. Bozuk olan genin yerini alacak normal genin DNA veya RNA moleküllerinin hücreye ulaştırılması için çeşitli vektörler yani taşıyıcı sistemler kullanılır. Genleri ve genlerin kodladığı bilgiyi hedef hücreye aktarabilme özellikleri nedeniyle virüsler günümüzde kullanılan en etkili vektörlerdir.

1 Tanımlama

Hastalığa neden olan genin hatalı DNA dizilimi belirlenir. Sağlıklı gende olması gereken doğru DNA molekülü sağlıklı hücrelerden izole edilerek çoğaltılır.

3 Yeni Genetik Bilginin Kopyalanması

Hücreye giren virüs sitoplazmada çoğalarak değiştirilmiş DNA'yı kopyalar ve sağlıklı geni hedef hücrenin çekirdeğine aktarır.



2 Vektör (Taşıyıcı Virüs)

Doğru DNA dizilimine sahip gen, vücuda zarar vermesi ve hastalık yapma yeteneği engellenen virüse aktarılır.

Transkripsiyon sürecinde DNA'yı oluşturan nükleotit dizisi RNA polimeraz enzimi tarafından bir RNA dizisi olarak kopyalanır yani DNA'dan RNA'ya genetik bilgi aktarılır. Daha sonraki aşamalarda ise bu genetik bilgi bir proteine veya peptit dizisine çevrilir.

DNA transkripsiyonu



Değiştirilecek hasarlı gen



Eklenen sağlıklı gen

4 Sentez

Çekirdeğin içine aktarılan sağlıklı gen, hücrenin orijinal geni gibi görev yapmaya başlayarak önceden kodlanamayan proteini artık kodlamaya başlar. Sağlıklı hücreler laboratuvar ortamında çoğaltılır.

5 İyileşme

Genetik hatayı düzelterek şekilde değiştirilmiş geni taşıyan, protein sentezi yapabilen ve yeterli sayıda çoğaltılan sağlıklı hücreler hastaya nakledilir. Hücreler bölündükçe sağlıklı genin sentezlediği proteinin üretilmesi ve doğru genetik bilginin ilgili hücre, doku veya organ içinde yayılması devam eder. Düzgün çalışmaya başlayan gen sayesinde hastalık tedavi edilebilir.

Hücre çekirdeği

Değiştirilmiş DNA

Sentezlenen protein

Yeni sağlıklı hücre

Genetik Hastalıklar

Genlerde ve kromozomlarda görülen anomaliler sonucu ortaya çıkan, genellikle vücuttaki tüm hücrelerde bulunan ve döllenmeden beri var olan hastalıklardır. Herhangi bir gen düzgün çalışmayınca kodladığı protein yapısı da normal olmaz. Buna bağlı olarak vücutta örneğin kistik fibroz, kas distrofisi, hemofili, Akdeniz anemisi ve bağışıklık sistemi zayıflığı gibi çeşitli genetik bozukluklar ve hastalıklar meydana gelir.

Bazı genetik hastalıklar gamet, sperm ve yumurta gibi üreme hücrelerini oluşturan mayoz bölünme sırasında oluşan kromozom ve gen anomalileri nedeniyle ortaya çıkar. Hatalı genler ebeveynlerden doğrudan alınmış da olabilir. Bu durum, hatalı genin baskın olması ya da iki çekinik genin bir araya gelmesi sonucu ortaya çıkabilir.