

## МЕДИЧНІ, ЕТИЧНІ ТА ПРАВОВІ АСПЕКТИ ГЕННОЇ ТЕРАПІЇ.

Ковальова О. М., Харківський національний медичний університет,  
Харків, Україна [prokov@gmail.com](mailto:prokov@gmail.com)

Останні роки ознаменувалися значними досягненнями в галузі медицини та біології, серед яких епохальне значення мають відкриття в молекулярній генетиці, що привело до створення та розвитку революційних лікувальних напрямків - генної терапії.

Генна терапія – це маніпуляція спрямована на відновлення функції специфічного індивідуального гена людини для лікування захворювання та певного розладу, введення «нормального» гена в геном для заміщення відсутнього або «дефектного» гена, що є причиною патології. Розробляються методики блокади експресії дефектних генів, підсилення експресії нормальних генів, відновлення експресії блокованих генів. З метою введення гена безпосередньо в клітину використовують вектори. Загальноприйнятим в генній терапії вектором є вірус, який здатен переносити ДНК людини, розпізнавати конкретні клітини та доставляти в них генетичний матеріал. Розроблено методики створення не вірусних векторів, заснованих на використанні плазмід, ліпосом, аденовірусних білків, трансферину та інших компонентів, які в комплексі вводять терапевтичну ДНК в цільову клітину. До новітніх стратегій, які корегують функції гену, належить технології CRISPR.

Початок ери генної терапії припадає на 90-і роки ХХ століття, коли вперше здійснено лікування дитини з вродженим імунodefіцитом. В результаті заміни дефектного гену було відновлено продукції ензиму, дефіцит якого відповідний за прояви захворювання, отримано позитивний клінічний ефект, але він був тимчасовий. В подальшому було розширено спектр захворювань, по відношенні до яких було здійснено впровадження методів генної терапії

Серед галузей наукового знання, по відношенні до яких виникає безліч дискусійних питань стосовно соціальної відповідальності вченого та етичної оцінки його діяльності, особливе місце посідає генна інженерія і насамперед генна терапія. Переваги генної терапії полягають в тому, що вона забезпечує корекцію анормального гена, а не тільки фенотипічний ефект внаслідок фармакологічного лікування. Разом з тим, незважаючи на позитивні клінічні прояви та ентузіазм дослідників, при маніпуляції з векторними системами встановлені побічні ефекти. В зв'язку з цими фактами міжнародними та національними організаціями постійно відбувається створення етичної та правової регуляції наукових досліджень в галузі генетики та практичного застосування цих надбань. Необхідна подальша кооперація спеціалістів по удосконаленню моральних та юридичних норм в галузі молекулярної біології, генної терапії, біоетики.