

**федеральное государственное автономное образовательное учреждение высшего образования  
Первый Московский государственный медицинский университет им. И.М. Сеченова  
Министерства здравоохранения Российской Федерации  
(Сеченовский Университет)**

Институт фармации им. А.П. Нелюбина  
Кафедра биотехнологии

**Методические материалы по дисциплине:**

**Генная терапия**

основная профессиональная образовательная программа высшего  
профессионального образования - программа бакалавриата

19.03.01 Биотехнология

### Ситуационные задачи:

Как известно, генетическая информация реализуется при экспрессии генов в процессах транскрипции (синтеза молекул РНК на матрице ДНК) и трансляции (синтеза белков на матрице РНК). Последовательность нуклеотидов кодирует информацию о различных типах РНК.

**Обоснуйте**, зачем нужен такой сложный механизм передачи генетической информации.  
**Проанализируйте**, на что направлена генная терапия как один из подходов молекулярной медицины.

На сегодняшний момент существует два типа генно-терапевтического воздействия: *ex vivo* и *in vivo*, но в любом случае это воздействие оказывается на соматические клетки, а не на клетки зародышевого пути.

**Проанализируйте** наличие именно 2-х методов генной коррекции

**Почему** нельзя воздействовать на клетки зародышевого пути.

**Оцените** преимущества и недостатки каждого из методов.

Вектор - широкое понятие: это общее название «транспортного средства» для целенаправленной доставки того или иного вещества, и не только гена, а любых, даже таких традиционных лекарств, таких как анальгин или аспирин.

**Охарактеризуйте** основные биологические и физико-химические свойства векторов для генной терапии.

**Проанализируйте** ситуацию с точки зрения эффективности использования того или иного вектора.

В настоящее время молекулярно-генетические принципы возникновения опухолей в основном понятны. Открыта и охарактеризована большая группа онкогенов, мутации в которых приводят к их повышенной экспрессии и, как следствие, к злокачественной трансформации клеток. Другая группа генов, обозначаемых как гены-супрессоры опухолей, кодируют белки, подавляющие клеточный рост.

**Приведите** причины, по которым разработка методов лечения онкологических заболеваний является очень трудной задачей.

**Охарактеризуйте** современные подходы к генной терапии опухолей.

В последние годы, как за рубежом, так и в России все большее внимание уделяется новым перспективным подходам к био- или иммунотерапии опухолей. В частности, активно разрабатываются и внедряются в клиническую практику противоопухолевые вакцины.

**Дайте сравнительный анализ** вакцинотерапии при инфекционных заболеваниях и при раке.

**На какие основные группы** можно разделить клинические исследования по вакцинотерапии опухолей (охарактеризуйте их).

**Расскажите** о новейших достижениях в онкологической практике, которые, с одной стороны, прямого отношения к генной терапии не имеют, однако, с другой стороны, используются как раз в комплексном лечении опухолей:

- в онкологической хирургии
- наночастицы золота в виде радиоактивной формы коллоидного золота
- в онкологической лучевой терапии
- стимуляции естественной защиты желудочно-кишечного тракта онкологических больных от токсичного влияния высоких доз химиолучевой терапии, применяемых на поздних стадиях метастатического рака

Вот уже несколько лет тема стволовых клеток остается одной из горячих. Публикации о них регулярно появляются в самых разнообразных газетах и журналах, от научно-популярных до совсем желтых изданий. И тон этих публикаций проходит все градации - от самого восторженного до гневно-разоблачительного. Ученые во всем мире говорят

о самых радужных надеждах на излечение болезней, которые до сих пор считались неизлечимыми. Вместе с тем, в Америке и Европе стволовые клетки запрещают, а в прессе появляются резко отрицательные высказывания ученых.

**Охарактеризуйте** ситуацию с точки зрения ошибок в терминологии, из-за чего и происходит значительная доля путаницы

**Укажите** принципиально важные свойства стволовых клеток

### ***Контрольные вопросы:***

1. Какие два типа генно-терапевтического воздействия существует на сегодняшний момент?
2. В чем заключается принципиальное отличие генной терапии от любой другой?
3. В каких процессах реализуется генетическая информация при экспрессии генов?
4. Какие типы РНК Вы знаете?
5. На коррекцию каких процессов направлена генная терапия?
6. Для лечения каких групп заболеваний применяется генотерапия?
7. Что предшествует разработке программы генной терапии?
8. Что включает стандартная схема генокоррекции наследственного дефекта ex vivo?
9. Тщательный анализ каких факторов предшествует разработке программы генной терапии?
10. Что включает стандартная схема генокоррекции наследственного дефекта in vivo?
11. На какие клетки оказывается генно-терапевтическое воздействие?
12. Перечислите вирусы, применяемые в генной терапии в качестве векторов.
13. Какие типы противоопухолевых вакцин вы знаете?
14. Какие основные молекулярно-генетические принципы возникновения опухолей вам известны?
15. Почему разработка методов лечения рака является чрезвычайно сложной проблемой?
16. На чем основаны современные подходы к генной терапии опухолей?
17. Почему эффективность противоопухолевых терапевтических вакцин достаточно низкая и как можно повысить их эффективность?
18. Благодаря каким новейшим разработкам был достигнут серьезный прогресс в онкологической практике в последние годы?
19. Перечислите свойства стволовых клеток.
20. Какие клетки относятся к стволовым?
21. Какими положительными эффектами обладает клеточная терапия?
22. Какие виды клеточной терапии используются в косметических салонах и медицинских центрах?
23. Какие существуют ограничения использования собственных стволовых клеток?
24. В чем преимущества фетальных стволовых клеток перед стволовыми клетками взрослого человека?
25. От каких факторов зависит эффект применения фетальных стволовых клеток?
26. Укажите основные преимущества и недостатки клеточной терапии
27. Каковы давние области применения клеточных технологий в медицине?
28. Какими свойствами обладают индуцированные плюрипотентные стволовые клетки?
29. Какие органы в настоящее время удается выращивать методами тканевой инженерии?
30. Из чего состоит матрица, определяющая форму и структуру будущего искусственного органа?
31. Какие искусственные органы и ткани были пересажены в результате первых клинические экспериментов?