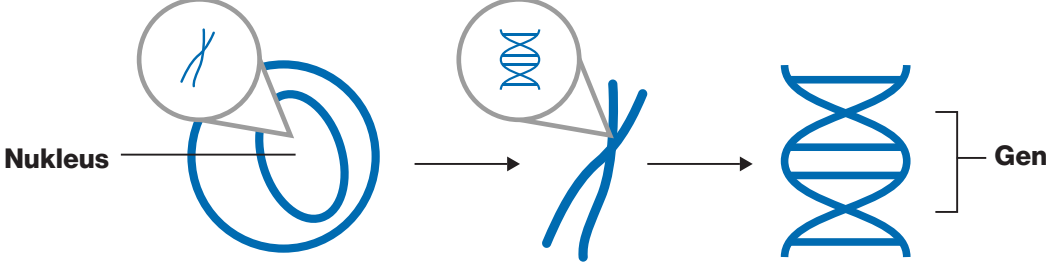


Hva er celle- og genterapi?

Alle levende organismer består av celler. Dypt inne i disse cellene finnes gener. Gener er små biter av DNA som inneholder genetisk informasjon og instruksjoner for å lage proteiner, som igjen bidrar til å bygge opp og vedlikeholde kroppen.¹

Gener er en del av vårt DNA:¹



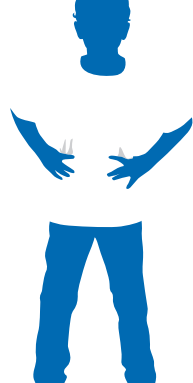
Celle

Kjernen styrer prosessene i cellen.

Kromosom

Kromosomer er trådlignende strukturer som består av DNA som er tett viklet mange ganger rundt proteiner som kalles histoner.

DNA



ET MENNESKE HAR RUNDT

20 000

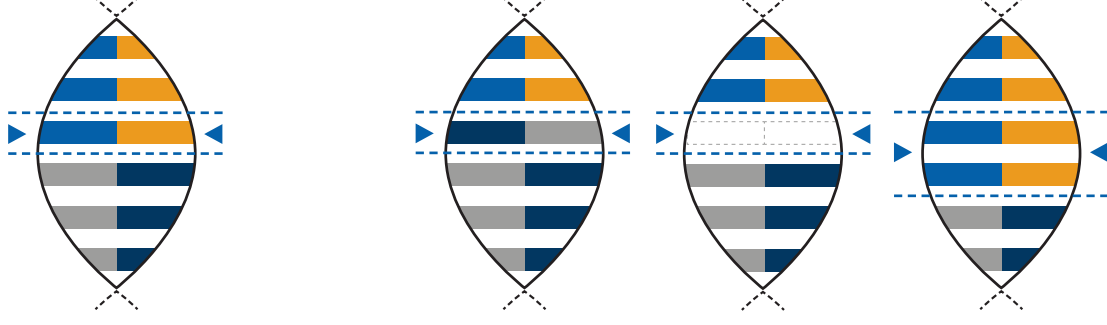
GENER I TO EKSEMPLARER – ETT FRA HVER AV FORELDRENE.

Små variasjoner i genene fører til forskjeller i personers utseende og potensielt også i helsen deres.¹

Hva er genetiske sykdommer?

Genetiske sykdommer forekommer når en kritisk del av eller hele seksjonen av DNA blir byttet ut, slettet eller duplisert.² Disse endringene kalles genetiske mutasjoner.³

Genetiske mutasjoner kan forårsake alvorlige sykdommer:²



Opprinnelig DNA-sekvens

Genetiske mutasjoner

Erstatning

Sletting

Duplisering

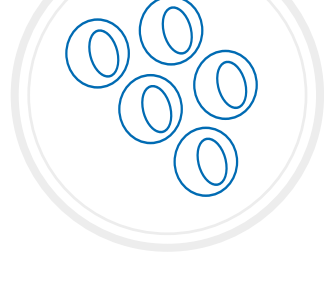


Noen alvorlige genetiske sykdommer som er forårsaket av genetiske mutasjoner, kan bli overført til kommende generasjoner.⁴

Hvordan bidrar celle- og genterapi til å behandle genetiske sykdommer?

Celleterapi og genterapi er overlappende områder innen biomedisinsk forskning og behandling.⁶ Begge terapiene har som mål å behandle, forebygge eller potensielt kurere sykdommer, og begge tilnæringsmåtene har potensial til å motvirke den underliggende årsaken til genetiske sykdommer og ervervede sykdommer.⁶ Celle- og genterapi fungerer imidlertid på ulike måter.

Forskjellen mellom celleterapi og genterapi:



Celleterapi har som mål å behandle sykdommer ved å gjenopprette eller endre visse sett av celler eller ved å bruke celler til å transportere en terapi til ulike deler av kroppen.⁵ Ved celleterapi blir celler dyrket eller endret utenfor kroppen før de blir injisert i pasienten. Cellene kan komme fra pasienten (autologe celler) eller fra en donor (allogene celler).⁶ Noen terapier anses som både celle- og genterapi. Disse terapiene virker ved å endre gener i bestemte typer av celler og føre dem inn i kroppen.

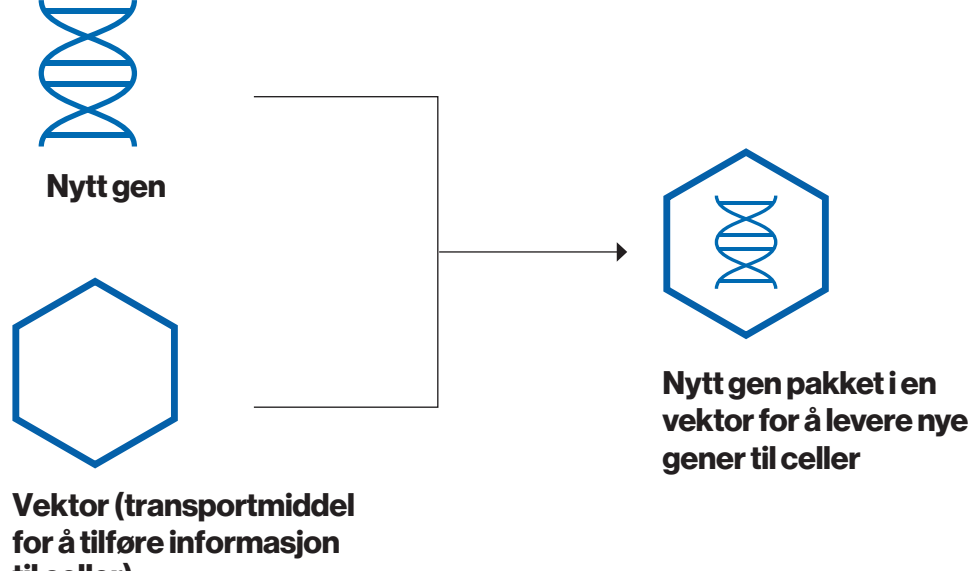


Genterapi har som mål å behandle sykdommer ved å erstatte, inaktivere eller tilføre gener i celler – enten inne i kroppen (in vivo) eller utenfor kroppen (ex vivo).⁶

Hvordan bruker vi celle- og genterapi?

Forskere har studert genterapi i mer enn 50 år.⁵ I dag overfører de nye gener til celler ved å bruke transportører som kalles vektorer. Disse fremstilles ofte av endrede, inaktiverede virus som ikke forårsaker sykdom.⁶

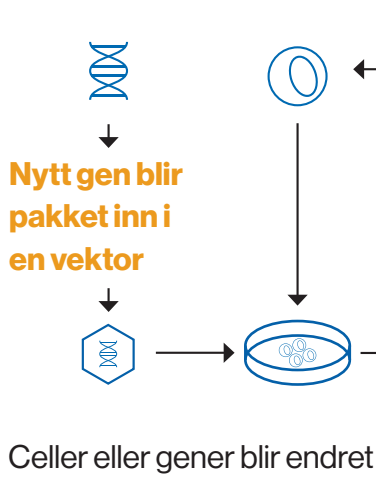
Paking av nye gener:



Når gener er pakket, er det to måter å tilføre det nye genet på – ex vivo eller in vivo

EX VIVO

utenfor kroppen



Celler eller gener blir endret eller erstattet utenfor kroppen, og blir deretter returnert til pasienten.

IN VIVO

inne i kroppen



Gener eller celler blir tilført eller endret direkte i pasienten.

Hvorfor er celle- og genterapi viktig?

Det er anslått at millioner av personer globalt lider av mer enn 10 000 sjeldne sykdommer som er forårsaket av mutasjoner av enkeltgener.⁴ For disse pasientene gir celle- og genterapi håp og mulighet for å bli friske av sykdommer som før ikke kunne behandles eller var vanskelige å behandle.⁷



10 000

SJELDNE SYKDOMMER OVER HELE VERDEN BLIR FORÅRSAKET AV MUTASJONER I ENKELTGENER.⁴

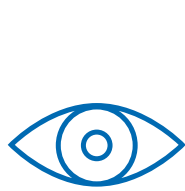
Celle- og genterapi gir håp på en rekke medisinske områder som ikke kan behandles eller er vanskelige å behandle:⁷



Hematologi



Onkologi



Oftalmologi



Nevrologi



Kardiologi

Referanser

1. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene? Tilgjengelig på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>. Sist åpnet april 2019.
2. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What kinds of gene mutations are possible? Tilgjengelig på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>. Sist åpnet april 2019.
3. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene mutation and how do mutations occur? Tilgjengelig på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genermutation>. Sist åpnet april 2019.
4. World Health Organization. Genes and human diseases.
5. Friedman T. A brief history of gene therapy. Nat Genet. 1992; 2: 93-98.
6. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. Tilgjengelig på: <https://www.asgct.org/education/different-approaches>. Sist åpnet april 2019.
7. O'Reilly M, Kohn DB, Bartlett J, et al. Gene therapy for rare diseases: summary of a National Institutes of Health workshop. September 13, 2012. Hum Gene Ther. 2013; 24(4): 355-362.