# **Название вашего доклада**

А.Б. Автор, 1),\* В.Г. Соавтор 2)

1) *Институт, Город, Россия*

2) *Институт, Город, Россия*

*\*email: corresponding-author@mail.ru*

**Термин 1** – определение.

**Термин 2** – определение.

**Аббревиатура** – расшифровка. Пояснение.

Текст тезисов. В тексте сделайте акцент на вводной части, очень коротко (3-5 предложений) опишите непосредственно Вашу работу/примерный план доклада. Ориентируйтесь на слушателей уровня 1-2 курс бакалавриата.

Тезисы должны содержать название работы, список авторов, место(-а) работы, глоссарий со справочной информацией, содержательную часть и список литературы. Финальный вариант файла, включая список литературы, не должен превышать двух страниц, при этом соотношение объемов глоссария (списка терминов и аббревиатур) и основного текста не регламентируется. Список литературы должен содержать не менее 2 источников, но не более 5. Выберите основные источники, ссылки на научные публикации должны иметь doi. Иллюстрации в тексте тезисов не предусмотрены, любые нетекстовые вставки должны быть согласованы с Оргкомитетом. Шрифты, размер, отступы менять запрещено. При подаче заявки необходимо предоставить исходный файл формата .docx

Студенческие Конференции Академического университета проводятся в весеннем и осеннем семестрах. Организаторами являются сами студенты, участниками могут стать учащиеся старших классов Лицея ФТШ, студенты бакалавриата и магистратуры АУ и других университетов.

По всем вопросам можно обращаться в Оргкомитет

по адресу электронной почты daryashishkina@list.ru или в telegram @daryashishkinaa. По вопросам работы сайта <https://github.com/denisstrizhkin/conference-site/issues>

Важные даты:

* Срок подачи тезисов – 2 мая 2025
* Прием правок –до 7 мая 2025
* Информирование о принятых докладах – 5 мая 2025
* Проведение Конференции – 15-16 мая 2025

Ниже представлен образец текста, предоставленного на одну из прошлых Студенческих Конференций.

***Список литературы:***

[1] Название. А.Б. Автор, В.Г. Соавтор. Письма в ЖЭТФ 54, 321 (2024). DOI:

10.1003/ZhETP.35.1214.

[2] Title. A.B. Coauthor1, C.D. Coauthor2. Phys. Rev. C 12, 345678 (2024). DOI:

10.1103/PhysRevC.32.1234.

# **Генная терапия: основные принципы и перспективы развития**

Евгений Пряхин1)

1)*Академический университет им. Ж.И. Алфёрова*

**Генная терапия** – совокупность биотехнологических методов, направленных на модификацию генетического аппарата клеток человека в целях лечения заболеваний.

**Догма молекулярной биологии** – обобщающее правило реализации генетической информации: информация передаётся от нуклеиновых кислот к белку, но не в обратном направлении.

**Геном** – совокупность наследственного материала (ДНК), заключённого в клетке организма

**Экспрессия генов** – процесс, в ходе которого наследственная информация от гена (последовательности нуклеотидов ДНК) преобразуется в функциональный продукт — РНК или белок.

**Транскрипция** – синтез молекулы РНК на матрице молекулы ДНК.

**Трансляция** – синтез молекулы белка на матрице молекулы мРНК.

**Эукариоты** – организмы, клетки которых содержат мембранные органоиды, в частности ядро (люди относятся к эукариотам)

**Нуклеаза** – белковая молекула (фермент), который осуществляет гидролиз (разрушение) нуклеиновых кислот.

**Эндоцитоз** – процесс захвата внешнего материала клеткой, осуществляемый путём впячивания мембраны.

**Эндосомальным эскейпом** – процесс избегания гидролиза в эндосоме называется.

**ГСК** – гемопоэтические стволовые клетки, стволовые клетки, производящие клетки крови.

**CAR-T** – Chimeric Antigen Receptor of T-cells, химерный рецептор антигена Т-клеток.

Генная терапия - крайне развивающаяся отрасль, позволяющая не только излечивать генетических патологии, но и в перспективе осуществлять профилактику инфекционных заболеваний, применять регенеративную медицину и многое другое.

Обычные лекарственные препараты влияют на белковый уровень организации, однако генная терапия позволяет действовать на предшествующие уровни организации. На данный момент существуют методы, позволяющие “вмешаться” в любой этап реализации генетической информации: транскрипцию, сплайсинг, трансляцию.

Методы генной терапии заключаются в доставке в клетки каких-либо генетических или белковых конструкций, которые тем или иным способом влияют на экспрессию генов:

* Кодирующие нуклеиновые кислоты, в которых закодирован “правильный” белок: ДНК или мРНК;
* Антисмысловые Олигонуклеотиды (АСО), например, миРНК (малые интерферирующие РНК);
* Инструменты для редактирования генома, например, цинковые пальцы, TALEN, CRISPR-Cas.

Препятствия для доставки конструкций:

1. Нуклеазы в крови – естественная защита от вирусных ДНК;
2. Налипание белков на ДНК и затруднение её попадания в целевые клетки;
3. Электростатическое отталкивание ДНК от клеточной мембраны;
4. Слияние эндосомы с лизосомой, разрушает доставляемую с помощью эндосомы ДНК. Это наибольшая проблема для доставки нуклеиновых кислот;
5. Для ДНК: трудности преодоления ядерной оболочки.

Системы доставки:

* Вирусные: адено-ассоциированные вирусы, лентвирусы, вирусы герпеса;
* Невирусные: неорганические частицы из золота, железа, кремния, карбоната кальция, полимерные наночастицы, белковые частицы или, например, липидные наночастицы;
* Физические методы доставки: электропорация и генная пушка.

В генной терапии существуют 2 подхода к лечению заболеваний: *in vivo* (“внутри живого организма”) и *ex vivo* (“то, что происходит вне организма”). Второй подход состоит, по сути, в том, что с помощью генетической терапии иммунитет или непосредственно клетки пациента модифицируются таким образом, чтобы они сами могли бороться с заболеванием.

С помощью генной терапии можно осуществлять профилактику вирусных заболеваний, например, вакцины Спутник-V, Pfizer и Moderna. Потенциально область применения генной терапии в принципе ничем не ограничена.

***Список литературы:***

1. “Gene therapy clinical trials, where do we go? An overview” by Fatemeh Arabi, Vahid Mansouri, Naser Ahmadbeigi, 2022 (doi: 10.1016/j.biopha.2022.113324)
2. “Applications and developments of gene therapy drug delivery systems for genetic diseases” by Xiuhua Pan et al., 2021 (doi: 10.1016/j.ajps.2021.05.003)