**§ 49. Генетична інженерія людини. Біоетичні проблеми**

1. **Читаємо п.49.**
2. Генетична (генна) інженерія надзвичайно широко використовується в сучасній біології та медицині. Для яких хвороб використовують діагностику?
3. Логічним розвитком технологій генетичної інженерії людини було створення нового напряму в медицині — генної терапії. В чому її суть? Ознайомтесь із мал.49. яку інформацію ви отримали?
4. Одним із найновіших методів генної терапії стала технологія CRISPR. В чому методика роботи за цією системою? Як ви вважаєте. Чи можливо використовувати її для діагностики хворих на КОВІТ?
5. **Виготовлення лікарських препаратів. Ознайомтесь із схемою виробництва інсуліну.**
6. Основні принципи біоетики, яких бажано дотримуватися для недопущення етичних проблем, запропонували американські вчені Т. Л. Бічамп і Дж. Ф. Чілдрес (1985 р.). . як ви вважаєте, чому при використанні всіх досліджень ми повинні пам’ятати про етику?
7. Дом\\завдання. Вивчити п.49. письмово – 5 чи 8 на ваш вибір.

Тема заняття. Генна інженерія людини: досягнення і ризики. Біоетичні проблеми сучасної медицини.

Мета: розглянути використання в геномі людини сучасних методів лікування та діагностування спадкових хвороб та пов’язаних з цим етичних проблем.

План

1. Вивчення нового матеріалу

== Генна інженерія людини виявилася дуже перспективною для медицини передусім у створенні нових методів біотехнології: отримання ліків (інсулін, соматостатин, інтерферони, соматотропін), створення й застосування рекомбінантних вакцин (наприклад, проти гепатиту В і папіломи людини), генетичного тестування (наприклад, для визначення спадкової схильності новонароджених до певних хвороб). Найпоширенішими є методи генотерапії.

Генотерапія – це лікування захворювань шляхом заміни дефектних генів нормальними. Основою генотерапії є методи внесення змін у генетичний апарат клітин пацієнтів з метою спрямованої зміни генних дефектів або надання клітинам нових функцій. Залежно від способу введення ДНК у геном пацієнта генотерапія може відбуватися в культурі клітин або безпосередньо в організмі.

У генотерапії вирізняють такі види, як:

* фетальна генотерапія – чужорідну ДНК вводять у зиготу (ембріон) на ранній

стадії розвитку;

* соматична генотерапія – введення генів у соматичні клітини пацієнта;
* позаорганізмова генотерапія – введення генів у культивовані клітини і

пересадка цих клітин пацієнтам;

* гактивація власних генів організму з метою подолання дії мутантного гена.

Регенеративна медицина досягла значних успіхів у розробленні методів лікування різноманітних захворювань, зокрема печінки, серцево-судинних захворювань, хвороб ока, травм центральної нервової системи тощо. Нині для лікування цукрового діабету І типу можна застосовувати методику, за якої з підшлункової залози донора відбирають клітини, що можуть синтезувати інсулін, і вживлюють їх людині з діабетом. Регенеративну медицину пов’язують з використанням стовбурових клітин

(ембріональних, клітин пуповинної крові).

Вирощування органів зі стовбурових клітин поза організмом дає змогу

розв’язати проблеми отримання потрібної кількості донорського матеріалу для

трансплантації органів. Наприклад, технологія химерних ембріонів дає змогу зі

стовбурових клітин отримати клітини серцевого м’яза, клапани серця з наступною їх трансплантацією пацієнтам з хворим серцем.

**== Досягнення сучасної генної терапії людини.** Перше повідомлення про успішне застосування соматичної генної терапії з’явилося у 1990 р. щодо чотирирічної дівчинки Ашанти Де Сильва із уродженим імунодефіцитом. Нині вона має функціональну імунну систему і веде нормальне життя. У 2012 р. у США та Європейському Союзі ліцензію на комерційне використання отримав перший засіб генної терапії для лікування недостатності ферменту ліпопротеїнліпази, що призводить до важкого ураження підшлункової залози. Однак через непомірну вартість цього лікування (близько 1 000 000 $) цією можливістю скористалась тільки одна людина у 2016 р. Улітку 2018 р. у США правління із санітарного нагляду за якістю харчових продуктів і медикаментів (Food and Drug Administration, FDA) схвалило використання генної терапії для пацієнтів у віці від 3 до 25 років із гострим лімфобластним лейкозом. Ця терапія ґрунтується на створенні химерних антигенних рецепторів CAR-Т. Трансгенні Т-лімфоцити, «оснащені» цими рецепторами, здатні розпізнавати злоякісні клітини, а потім знищувати їх .

Пройшов перший етап випробування генно-інженерний препарат SPK-FIX. Це вірусний вектор, який несе нормальну копію гена фактору зсідання крові IX і призначений для лікування однієї з форм гемофілії. Наприкінці лютого 2018 р. учений із Шеньчженського університету оголосив, що йому вдалося успішно відредагувати геном людської яйцеклітини. Він використав технологію редагування ДНК CRISPR/Cas9 . Метою редагування було вимкнути ген, який кодує білок, що дає змогу ВІЛ потрапити в клітину. Потенційно редагування ДНК може допомогти в боротьбі проти майже будь-яких захворювань - від спадкових до тих, які поки що є невиліковними (рак, ВІЛ, хвороба Альцгеймера тощо).

**== Безпечність втручань у геном людини та біоетичні проблеми генної інженерії людини.** Як будь-який метод лікування, генна терапія також має недоліки й побічні ефекти. Це пов’язано насамперед з методами доставляння генів у відповідні клітини. Найчастіше як вектори використовують віруси, які можуть спричинити бурхливу імунну відповідь у пацієнта або ризик розвитку інфекції, якщо модифікований вірус буде взаємодіяти з незміненими вірусами, наявними у клітинах пацієнта. Ще один ризик: вбудовування в геном привнесеного гена є випадковим, а це може призвести до появи додаткових мутацій і розвитку різних патологій. Останні дослідження показали що, поруч із місцями, де «попрацювала» CRISPR/Cas9, спостерігають видалені або замінені ділянки ДНК у кілька тисяч пар основ. Так постало питання щодо безпеки CRISPR/Cas9.

1. Закріплення знань

Дайте відповіді на запитання

1. Які хвороби можна лікувати за допомогою генної терапії? 2. Які відомі стратегії генної терапії? 3. Які досягнення сучасної генної терапії? 4. Із чим можуть бути пов’язані побічні ефекти генної терапії?

**Поміркуйте.** У яких випадках можливе або необхідне генно-інженерне втручання у геном ембріонів людини?