

## **Terapii genice și celulare** <sup>[1]</sup>

Reimaginăm medicina pentru a crea un context favorabil inovației în domeniul terapiilor genice și celulare.



## Ce sunt celulele și genele ?

Celulele sunt elementele structurale de bază ale oricărei ființe vii, iar genele pot fi găsite profund în interiorul unei celule. Genele sunt scurte secvențe de ADN care poartă informație genetică și instrucțiuni pentru producerea de proteine, ceea ce ajută la dezvoltarea și stabilitatea organismului<sup>1</sup>.

Video of Seeing the future of gene therapy: What is gene therapy?

Fiecare persoană are în jur de 20,000 de gene și două copii ale fiecărei gene – câte una de la fiecare părinte. Ușoarele variațiuni genetice se pot reflecta în diferențe la nivel de înfățișare, dar și, posibil, în ceea ce privește starea sănătății<sup>1</sup>.

## Ce sunt bolile genetice?

Bolile genetice apar atunci când o componentă esențială sau întreaga secvență de ADN este înlocuită, duplicată sau lipsește cu totul<sup>2</sup>. Aceste modificări poartă numele de mutații genetice<sup>3</sup>. Unele boli genetice grave, cauzate de mutații genetice, pot fi transmise urmașilor generațiilor<sup>4</sup>.

## Cum ajută terapiile genice și celulare în tratarea bolilor genetice?

Terapiile genice și celulare sunt domenii cu multe aspecte comune, care țin de domeniul cercetării și tratamentului biomedical<sup>6</sup>. Ambele terapii au ca scop tratarea, prevenirea și posibilă vindecare a bolilor și ambele abordări au potențialul de a înlătura cauza bolii genetice sau dobândite<sup>6</sup>. Totuși, terapiile celulare și terapiile genice funcționează diferit.

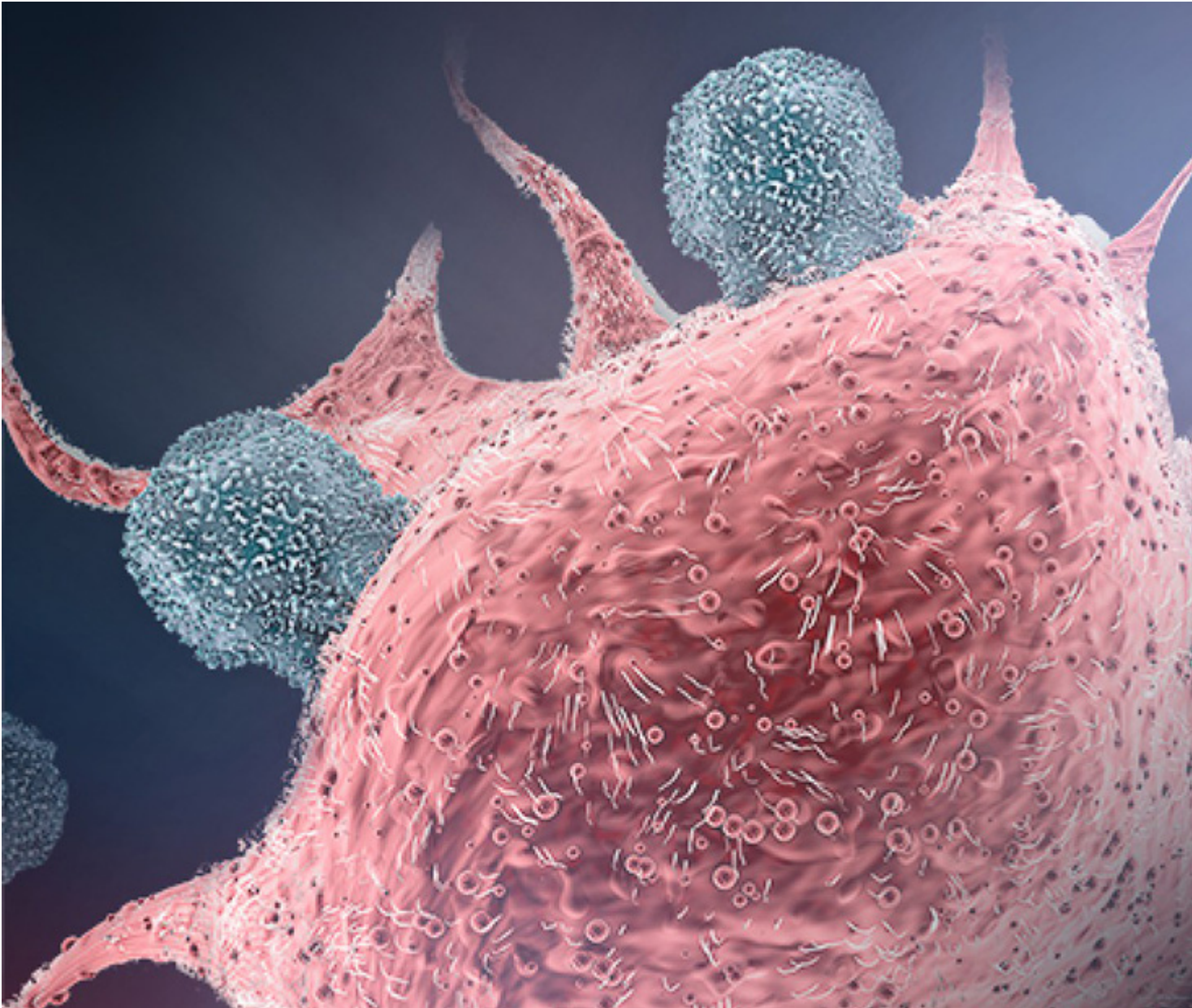
## Diferența dintre terapiile genice și terapiile celulare:

Terapia celulară are ca scop tratarea bolii prin regenerarea sau modificarea anumitor seturi de celule sau folosirea celulelor în diseminarea tratamentului în corp<sup>5</sup>. În cadrul acestei terapii, celulele sunt cultivate sau modificate în mediu de laborator, în afara corpului, înainte de a fi injectate pacientului. Celulele pot aparține pacientului (autorecoltate) sau unui donator (celule alogene)<sup>6</sup>.

Terapia genică are ca scop tratarea bolilor prin înlocuirea, inactivarea sau introducerea de gene în cadrul celulelor – fie direct în corpul pacientului (in vivo), fie în mediu de laborator (ex vivo)<sup>6</sup>.

Unele terapii sunt considerate a fi și celulare și genice. Acestea funcționează prin modificarea genelor în anumite tipuri de celule și introducerea acestora în corpul uman.

**Featured image:**



Reimagin?m medicina pentru a crea un context favorabil inova?iei în domeniul terapilor genice ?i celulare.

**Disclaimer:**

**Referin?e:**

1. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene? Available at: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene> [2]. Last accessed April 2019.
2. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What kinds of gene mutations are possible? Available at: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations> [3]. Last accessed April 2019.
3. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene mutation and how do mutations occur? Available at: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation> [4]. Last accessed April 2019.
4. World Health Organization. Genes and human diseases. Available at: <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html> [5]. Last accessed

April 2019.

5. Friedman T. A brief history of gene therapy. Nat Genet. 1992; 2: 93-98.
6. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. Available at: <https://www.asgct.org/education/different-approaches> [6]. Last accessed April 2019.

### **Accordion Type:**

Collapsible

---

**Source URL:** <https://www.novartis.com.ro/inovatie/terapii-genice-si-celulare>

### **Links**

- [1] <https://www.novartis.com.ro/inovatie/terapii-genice-si-celulare>
- [2] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>
- [3] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>
- [4] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>
- [5] <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>
- [6] <https://www.asgct.org/education/different-approaches>