

В настоящее время не представляется возможности полностью повторить живое сердце и что бы оно осуществляло свою работу в связи с выше перечисленными проблемами, поэтому вопрос о создании искусственного сердца остается открытым.

#### ЛИТЕРАТУРА

1. Трансплантология и искусственные органы: учебник / под ред. акад. РАН С. В. Готье. — М.: Лаборатория знаний, 2018. — 322 с.
2. Писня, Н. Органы печати: как с помощью 3D-принтера делают уши, кожу и носы / Н. Писня // BBC: русская служба [Электронный ресурс]. — 2018. — Режим доступа: <https://www.bbc.com/russian/features-43032331>. — Дата доступа: 23.03.2018.
3. Пысина, Л. М. Искусственные органы. Иновационные методы / Л. М. Пысина // Новая наука: проблемы и перспективы. — 2016. — № 53(79). — С. 27–29.
4. Беляев, Л. В. Технологии изготовления компонентов искусственных желудочков сердца пульсирующих систем вспомогательного кровообращения и искусственного сердца из гемосовместимых материалов / Л. В. Беляев, И. В. Волкова, А. В. Жданов // Научно-технический вестник Поволжья. — 2015. — № 5. — С. 132–134.

УДК 606:616-056.7

### ГЕННАЯ ТЕРАПИЯ: СОВРЕМЕННОСТЬ И ПЕРСПЕКТИВА

*Моисеенко А. С., Лебедев А. Н.*

Научный руководитель: к.б.н., доцент *Н. Е. Фомченко*

Учреждение образования

«Гомельский государственный медицинский университет»

г. Гомель, Республика Беларусь

#### **Введение**

Можно успешно бороться с возбудителями недугов — бактериями и вирусами, но, если проблема находится в геноме человека от рождения, помочь пациенту крайне тяжело. Современная наука упорно ищет возможность «отремонтировать» мутировавшие гены и поскольку сейчас мы живем в XXI в. это стало возможным. Мечты человечества о бессмертии и об отсутствии болезней могут воплотиться в реальность.

#### **Цель**

Провести анализ литературных источников в области генной терапии и перспектив её использования.

#### **Материал и методы исследования**

Анализ и обобщение научной литературы.

#### **Результаты исследования и их обсуждение**

Генотерапия — совокупность генноинженерных и медицинских методов, направленных на внесение изменений в генетический аппарат клеток человека в целях лечения заболеваний. Это развивающаяся область, ориентированная на исправление дефектов, вызванных мутациями в структуре ДНК, поражением ДНК человека вирусами или на придание клеткам новых функций.

В настоящее время различают генное воздействие на соматические и половые клетки человека. Генная терапия направленная на соматические клетки человека способна изменить его структуру ДНК, а направленная на половые клетки — изменяет структуру ДНК потомков и весь геном.

Есть эффективный способ на основе целевого редактирования генома по технологии CRISPR/Cas9. Несколько лет назад микробиологи обнаружили у давно изученного

вида бактерий иммунитет к вирусным инфекциям. В результате дальнейших исследований выяснилось, что ДНК бактерий содержат в себе особые локусы CRISPR (Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats — короткие палиндромные повторы, регулярно расположенные группами), с которых синтезируются фрагменты РНК, умеющие комплементарно связываться с нуклеиновыми кислотами чужеродных элементов, например с ДНК или РНК вирусов. С такой РНК связывается белок Cas9, представляющий собой фермент-нуклеазу. РНК служит для Cas9 гидом, помечающим определенный участок ДНК, в котором нуклеаза совершает разрез. Новый метод позволяет подобрать элементы системы CRISPR/Cas9 таким образом, чтобы точно нацелить РНК-гиды на нужные участки генома и добиться целенаправленной делеции или вставки нужной последовательности ДНК, таким образом разрабатываются технологии CRISPR/Cas9 для редактирования генома.

Но есть и другой метод генной терапии под названием «биогенный пластырь» — восстановление нормального синтеза белка — пропуск экзонов с помощью коротких нуклеотидных последовательностей. Уже отработана технология работы с геном дистрофина с помощью такого метода. Как известно, в процессе транскрипции (синтеза РНК) сначала формируется так называемая прематричная РНК, заключающая в себе как кодирующие белок участки (экзоны), так и некодирующие (интроны). Далее начинается процесс сплайсинга, в ходе которого интроны и экзоны разъединяются и формируется «зрелая» РНК, состоящая только из экзонов. В этот момент некоторые экзоны можно заблокировать, «залепить» с помощью особых молекул. В итоге в зрелой РНК не окажется тех кодирующих участков, от которых возможно исследователи предпочли бы избавиться, и таким образом восстановится рамка считывания, белок будет синтезироваться. На данном этапе изучения этого метода создаются модели с определенными мутациями на основе лабораторных животных. Использование вышеперечисленных методов может сопровождаться определенными рисками, так как генотерапия может как обеспечить клиническую пользу, так и привести к расширению и злокачественной трансформации гемопоэтических клонов с переносными векторными вставками вблизи онкогенов, что увеличит риск лейкемии. Это случается потому что РНК-гид иногда соединяется не с тем участком, на который его нацеливают. Однако при использовании CRISPR/Cas9 эффективность создания трансгенов составляет уже около 80 % [1–3].

### **Вывод**

Итак, перспективное развитие генной терапии является многообещающим в предотвращении развития заболеваний, но в настоящее время развитие инструментов для исправления мутации сильно отстает от методов диагностики, но мы надеемся, что современное развитие генной терапии даст возможность лечить болезни на ранних этапах онтогенеза.

### **ЛИТЕРАТУРА**

1. N + 1 Интернет-издание [Электронный ресурс] / Генная терапия вылечила мышей в утробе матери. — М., 2016. — Режим доступа: <https://nplus1.ru/news/2018/07/16/in-utero>. — Дата доступа: 16.07.2018.
2. Биомолекула [Электронный ресурс] / Генная терапия. — М., 2007. — Режим доступа: <https://biomolecula.ru/themes/gen-terapija>.
3. Популярная механика [Электронный ресурс] / Генная терапия: как лечат генетические заболевания. — 2014. — Режим доступа: <https://www.popmech.ru/science/237204-gennaya-terapiya-kak-lechat-geneticheskie-zabolevaniya/>. — Дата доступа: 16.04.2016.