



ДЛЯ СЛУЖЕБНОГО
ПОЛЬЗОВАНИЯ



НИИ
ОРГАНИЗАЦИИ
ЗДРАВООХРАНЕНИЯ
И МЕДИЦИНСКОГО
МЕНЕДЖМЕНТА

ЭКСПЕРТНЫЙ ОБЗОР

ТЕХНОЛОГИИ ГЕННОЙ ТЕРАПИИ

МОСКВА
2 0 2 2

Технологии генной терапии
Гречушкина Наталья Александровна

Экспертный обзор

Научное электронное издание

УДК 614.1

ББК 51.1

Рецензенты:

Камынина Наталья Николаевна,
доктор медицинских наук, заместитель директора по научной работе ГБУ "НИИОЗММ ДЗМ"

Стасевич Наталья Юрьевна,
доктор медицинских наук, доцент, ведущий научный сотрудник отдела исследований общественного здоровья ФГБНУ «Национальный НИИ общественного здоровья имени Н.А. Семашко»

Организация-разработчик:

Государственное бюджетное учреждение города Москвы
«Научно-исследовательский институт организации здравоохранения и медицинского менеджмента Департамента здравоохранения города Москвы»
Научное электронное издание

Технологии генной терапии [Электронный ресурс] / [Н.А. Гречушкина]. – Электрон. текстовые данные. – М.: ГБУЗ «НИИОЗММ ДЗМ», 2022. – URL: <https://niioz.ru/moskovskaya-meditsina/izdaniya-nii/obzory/>

(Режим доступа ограничен) – Загл. с экрана. – 41 с.

ISBN 978-5-907547-25-4

В предлагаемом экспертном обзоре характеризуются ключевые технологии генной терапии, приводятся основные геннотерапевтические подходы при лечении наследственных и приобретенных заболеваний.

Издание будет полезно студентам медицинских вузов, аспирантам, специалистам, работающим в сфере организации здравоохранения, а также кругу лиц, интересующихся инновационными методами лечения в медицине.

Утверждено и рекомендовано к изданию Научно-методическим советом
ГБУ «НИИОЗММ ДЗМ» (Протокол № 6 от 21 июня 2022 г.)

ISBN 978-5-907547-25-4



Технологии генной терапии

Н.А. Гречушкина

Оглавление

Введение	5
Технологии доставки генетического материала	6
Вирусные системы доставки.....	6
Ретровирусы	7
Аденовирусы	8
Новые поколения аденовекторов.....	9
Аденоассоциированные вирусы.....	9
Вирус простого герпеса.....	10
Невирусные системы доставки.....	11
Липидные наночастицы	12
Электропорация	13
Прямая доставка ДНК	13
Технологии направленного редактирования генома	15
Мегануклеазы (MN).....	15
Нуклеазы с «цинковыми пальцами» (ZFN)	16
Эффекторные нуклеазы, подобные активаторам транскрипции (TALEN).....	17
Редактор генов CRISPR-Cas.....	17
Антисмысловые технологии	19
Генная терапия при лечении заболеваний	22
Генная терапия наследственных заболеваний.....	22
Генная терапия злокачественных новообразований	24
Онколитическая вирусная терапия.....	24
TCR- и CAR-T-клеточная иммунотерапия рака	26
Генная терапия болезней системы кровообращения.....	28
Гиперлипидемия и атеросклероз сосудов.....	28
Ишемическая болезнь сердца	29
Гипертоническая болезнь.....	29
Атеросклероз артерий нижних конечностей	30
Заключение.....	32
Список литературы.....	33