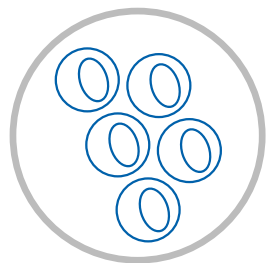


# Buněčná a genová terapie: nová éra v léčbě řady onemocnění

Byly vyvinuty s cílem nemoci léčit, předcházet jim nebo je potenciálně zcela vyléčit.<sup>1</sup> Způsob, jakým fungují, se ale liší.



**Buněčná terapie** léčí onemocnění tak, že obnoví nebo pozmění určité soubory buněk. Případně jsou buňky využity k roznášení léčby po těle.<sup>2</sup>

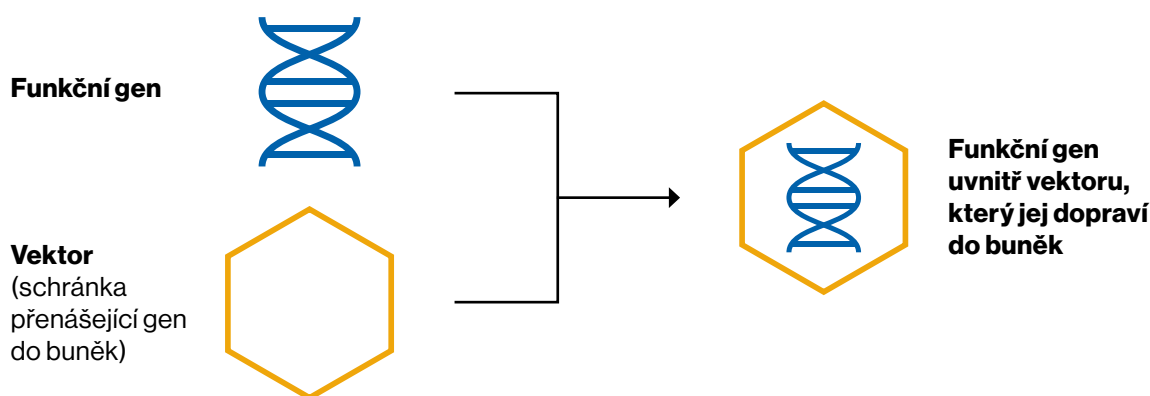


**Genová terapie** léčí onemocnění tak, že přenese funkční geny do buněk pacienta. Tam nahradí nefunkční geny nebo zablokuje aktivitu vadných genů.<sup>3</sup>

Některé způsoby léčby jsou považovány za buněčnou i genovou terapii zároveň.<sup>3</sup>

## Zajímavost: jak se dostane správně fungující gen do buněk<sup>3</sup>

Pro přenos genů do buněk jsou využívány **speciální přenašeče** zvané **vektory**. Ty zajistí, že se přepravovaný materiál dostane ke správným buňkám a nedojde k jeho zničení např. imunitním systémem.



Podle odhadů trpí miliony lidí na celém světě některým ze zhruba

# 8 000

vzácných onemocnění, z nichž až 80 % je způsobeno genetickou mutací.<sup>4,5</sup>

**Pro tyto pacienty znamenají buněčná a genová terapie naději na možné vyléčení obtížně léčitelných, dříve neléčitelných a nevyléčitelných onemocnění.<sup>2</sup>**

\* Světová zdravotnická organizace

Zdroje:  
1. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. [cit. 5. 10. 2020] Dostupné z: <https://www.asgct.org/education/different-approaches>.  
2. Friedman T. A brief history of gene therapy. Nat Genet. 1992; 2: 93–98.  
3. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. [cit. 5. 10. 2020] Dostupné z: <https://www.asgct.org/education/different-approaches>.  
4. Nature reviews. How many rare diseases are there? [cit. 21. 10. 2021] Dostupné z <https://www.nature.com/articles/d41573-019-00180-y?linkId=76707460>  
5. America's Biopharmaceutical Companies. Rare disease by the number. Dostupné z <https://innovation.org/about-us/commitment/research-discovery/rare-disease-numbers>