**Genová a buněčná terapie: nástup nové generace léčby**

Praha 21. 2. 2021 **– Po více než 50 letech výzkumu přinášejí buněčné a genové terapie novou kapitolu – nejen do medicíny, ale také do životů lidí se vzácným onemocněním a jejich rodin.1,2 Tyto terapie jsou vyvíjeny s cílem předcházet, léčit nebo potenciálně vyléčit závažná onemocnění.3 Začínají se využívat jak ve světě, tak i v České republice. Dokážou pomoci mnohdy jen jednou aplikací léku, která působí dlouhodobě, někdy na celý život. Nová generace terapií tak přináší možné řešení pro pacienty s doposud obtížně léčitelnými nebo nevyléčitelnými onemocněními.1**

*„U genové a buněčné terapie se nejedná o běžné tabletky, jaké známe doposud. Léčba je vyvinutá na míru konkrétnímu pacientovi, často z jeho vlastního biologického materiálu. Využívá geny a buňky pro přeprogramování těla tak, aby bojovalo s nemocí. Efekt léčby může být trvalý po podání jediné dávky,“* vysvětluje prof. MUDr. Milan Macek jr., DrSc., MHA, přednosta Ústavu biologie a lékařské genetiky 2. LF a FN Motol. Využití obou typů terapií je široké a pomoci může například u onemocnění krve a očí, kardiovaskulárních i neurologických onemocnění a u některých typů nádorových onemocnění.4

**Co jsou to buňky a geny**

Buňky jsou základní stavební jednotkou všech živých organismů. Hluboko v nich se nacházejí geny, malé úseky DNA, které nesou genetickou informaci a návod pro tělo, jak si vyrábět bílkoviny. Jedná se o bílkoviny, které mají v těle nespočet úkolů – od role stavebních prvků po hlavní regulaci tělesných funkcí.5 *„Geny nesou základní informace, které dědíme od našich rodičů. V některých situacích může docházet k mutacím, které způsobují vzácná onemocnění. S těmi může nově pomáhat genová a buněčná terapie, která genetické defekty cíleně řeší,“* říká profesor Macek.

**Jak funguje buněčná terapie**

Cílem buněčné terapie je obnovit nebo pozměnit určitý soubor buněk v našem těle.1 Při terapii jsou využívány buňky léčeného pacienta nebo dárce. Terapie s využitím dárcovských buněk jsou již známé například v podobě transplantace kostní dřeně u leukémie. Při této proceduře ale nejsou buňky od dárce nijak upravené. Nové terapie využívají vlastních buněk pacienta nebo dárce. Ty jsou po odebrání upraveny v laboratoři tak, aby v těle splnily určitou léčebnou funkci, následně jsou vráceny zpět do těla.3,6

**Jak funguje genová terapie**

Genová terapie léčí onemocnění prostřednictvím genů, a to několika způsoby: přidáním nového genu do buněk pacienta, nahrazením narušených genů nebo zablokováním nežádoucí aktivity určitých genů. Aby se nové upravené geny dostaly do buněk pacienta, využívají se speciální přenašeče, tzv. vektory. Vektory jsou často viry zbavené vlastní aktivity – nemohou tak vyvolat žádná onemocnění. Použity jsou pouze jako schránka, která dopraví nový gen do buněk pacienta. Nový fungující gen uvnitř buněk zajistí, že tělo dokáže správně tvořit bílkoviny potřebné pro vykonávání specifických funkcí.3

**Rozdíly oproti běžným léčebným metodám**

*„U běžných terapií užíváme k léčbě tablety, injekce nebo infuze, které mohou ztratit účinnost, jakmile je pacient přestane užívat. Pomáhají dlouhodobě zvládat projevy onemocnění, některé závažné choroby ale vyléčit neumějí. Buněčná a genová terapie fungují zcela odlišně. Zasahují do samotné příčiny vzniku onemocnění – vadného genu nebo buněk. Mají tak potenciál tato onemocnění nejenom léčit, ale v některých případech i vyléčit,“* říká profesor Macek. U velmi komplikovaných onemocnění je možností kombinovat obě terapie – buněčnou i genovou.3

**Vzácná a genetická onemocnění**

Nová generace terapií se zaměřuje na genetická onemocnění i získané choroby, často velmi závažné až život ohrožující.3 Může se zdát, že tato onemocnění nejsou nijak častá. Pravdou ale je, že nejsou tak vzácná, jak si podle názvu můžeme myslet.7 Podle různých odhadů trpí miliony lidí na celém světě některým ze zhruba 5 000–8 000 vzácných onemocnění, z nichž zhruba 80 % je geneticky podmíněno.8,9

Kontakt pro média:

Kristýna Hudeová, PR Manager, Havas, 727 818 975, [kristyna.hudeova@havaspr.com](mailto:kristyna.hudeova@havaspr.com)

**Zdroje:**

FRIEDMAN, T. A brief history of gene therapy. *Nat Genet*. 1992; 2: 93–98.

Harvard Stem Cell Institute. *Cell Therapies* [online]. [Cit. 26. 11. 2020]. Dostupné z: <https://hsci.harvard.edu/translation/what-are-drugs-5-cell-therapies>

American Society of Gene & Cell Therapy. *Different approaches* [online]. 11. 5. 2021 [cit. 5. 10. 2021]. Dostupné z: <https://www.asgct.org/education/different-approaches>.

O’REILLY, M., KOHN, D. B., BARTLETT, J., et al. Gene therapy for rare diseases: summary of a National Institutes of Health workshop, September 2012. *Hum Gene Ther*. 2013; 24(4): 355–362.

National Institutes of Health (NIH) U.S. National Library of Medicine. *What is a gene?* [online]. [Cit. 5. 10. 2021]. Dostupné z: https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene.

Typy, dárci a indikace k transplantacím. In: *Linkos.cz* [online]. [Cit. 5. 10. 2021]. Dostupné z: <https://www.linkos.cz/pacient-a-rodina/lecba/jak-se-lecit/transplantace-krvetvornych-bunek/typy-darci-a-indikace-k-transplantacim/>

World Health Organization. *Genes and human diseases* [online]. [Cit. 5. 10. 2021]. Dostupné z: <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>

HAENDEL, Melissa, VASILEVSKY, Nicole, DEEPAK, Unni, et al. How many rare diseases are there? *Nature Reviews Drug Discovery* [online]. 2020; 19: 77–78 [cit. 21. 10. 2021] Dostupné z <https://www.nature.com/articles/d41573-019-00180-y?linkId=76707460>

America’s Biopharmaceutical Companies. *Rare disease by the numbers* [online]. Dostupné z: <https://innovation.org/about-us/commitment/research-discovery/rare-disease-numbers>