

ГЕНОТЕРАПЕВТИЧНІ ПРЕПАРАТИ

Іванова Є., Іншина Н.

*Кафедра біофізики, біохімії, фармакології та біомолекулярної інженерії,
НН Медичний інститут, Сумський державний університет, м. Суми, Україна*

Вступ. Сучасні досягнення генетичної інженерії відкривають нові можливості у галузі терапії спадкових та онкологічних захворювань людини.

Мета роботи полягала у аналізі результатів досліджень стосовно технологій розробки генотерапевтичних препаратів та перспектив їх впровадження у клінічну практику.

Матеріали та методи. Інформаційний пошук здійснювали за допомогою баз даних PubMed, Google Scholar, Web of Science Core Collection.

Результати. Удосконалення технології рекомбінантної ДНК і розробка системи CRISPR/Cas9 для генетичної трансформації клітин забезпечили передумови створення ефективних генотерапевтичних препаратів для корекції метаболічних порушень при спадкових захворюваннях та злоякісних новоутвореннях.

Генотерапевтичні препарати є найдорожчими ліками у світі, що обумовлено значними витратами на їх розробку і тестування. У США, країнах ЄС, Японії та Бразилії схвалений препарат Zolgensma (Onasemnogene aberavovec), вартість однієї інфузії якого становить близько \$2,1 млн. Розробка і клінічні дослідження Zolgensma тривали більше 10 років. Препарат застосовують для генної терапії м'язової спінальної атрофії, він призначений для дітей віком до двох років. Препарат Zolgensma розроблений на основі модифікованого аденовірусу, що вбудовує копію правильного гена SMN1 у моторні нейрони. Крім Zolgensma для генної терапії спінальної м'язової атрофії також використовують препарати Evrysdi та Spinraza.

Для корекції зору у пацієнтів зі спадковою форми сліпоти застосовують препарат Luxturna, що містить 150 млрд копій виправленого гена RPE65, який кодує специфічний протеїн пігментного епітелію сітківки. Для досягнення терапевтичного ефекту достатньо введення однієї дози Luxturna.

Препарат Zynteglo є ефективним у генній терапії β-таласемії, він здатний замінити регулярні переливання крові, необхідні протягом всього життя пацієнта. Лікування полягає у одноразовому введенні в організм хворого генетично модифікованих гематопоетичних стовбурових клітин, що містять копії правильного гена β-глобіна.

Для генної терапії гострого лімфобластного лейкозу використовують препарат Kymriah, для терапії множинної мієломи – препарати Karvukti та Абесма. На сьогодні найбільша кількість досліджень у галузі генної терапії спрямована на боротьбу з онкологічними хворобами.

Висновки. Сучасні методи генетичної інженерії забезпечують можливість створення високоефективних генотерапевтичних препаратів, однак висока вартість обмежує їх активне впровадження у клінічну практику.

E-mail for correspondence: n.inshina@med.sumdu.edu.ua