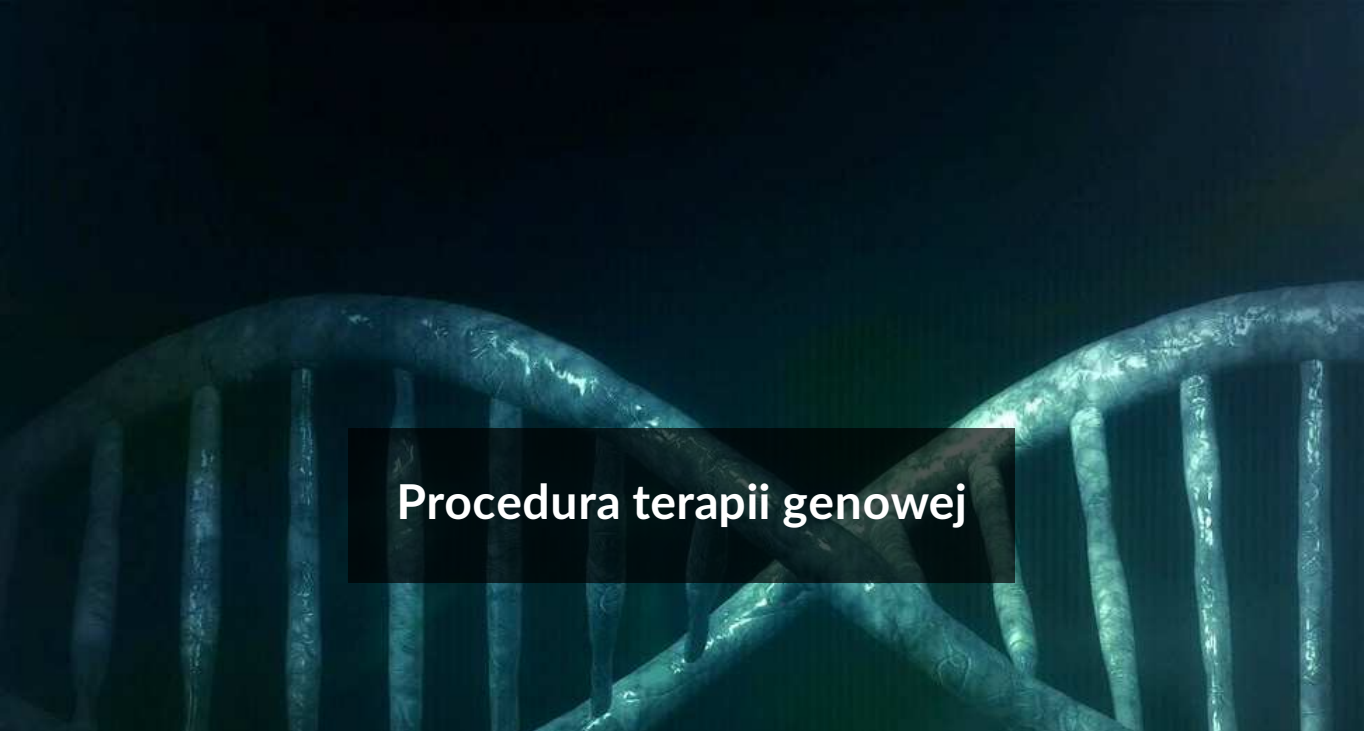




Procedura terapii genowej

- [Wprowadzenie](#)
- [Przeczytaj](#)
- [Gra edukacyjna](#)
- [Grafika interaktywna](#)
- [Dla nauczyciela](#)



Procedura terapii genowej

Pierwszy na świecie lek terapii genowej, o nazwie Gendicine, dopuszczono do użytku w Chinach w 2003 r., natomiast w Stanach Zjednoczonych i Unii Europejskiej w 2013 r. Jest to lek przeciwko rakowi kolczystokomórkowemu skóry głowy i szyi. W jego skład wchodzi wirus przenoszący białko zmuszające komórki nowotworowe do większej ekspresji genów hamujących rozwój nowotworu i zwiększających odpowiedź immunologiczną.

Źródło: Pixabay, domena publiczna.

Terapie genowe to innowacyjne procedury medyczne stosowane w leczeniu niektórych chorób o podłożu genetycznym, niemożliwych do wyleczenia metodami medycyny tradycyjnej. Rozwój inżynierii genetycznej i technologii DNA pozwala nie tylko na diagnostykę wielu chorób genetycznych, ale również modyfikację genomu komórek somatycznych, w których wystąpiła szkodliwa mutacja. Procedura tego typu jest nieraz jedyną szansą wielu chorych na prowadzenie normalnego życia.

Twoje cele

- Wyjaśnisz, na czym polega terapia genowa.
- Omówisz sposoby prowadzenia terapii genowej.
- Przedstawisz, czym są wektory genetyczne.

Procedura terapii genowej

Terapie genowe stosuje się w celu leczenia chorób genetycznych, wywoływanych przede wszystkim mutacjami jednogenowymi (np. mukowiscydoza, fenylketonuria czy anemia sierpowata), ale również wielogenowymi (np. miażdżycza czy choroba Parkinsona). Nie są to standardowe formy leczenia, a wiele z nich pozostaje jeszcze w fazie badań.

Procedura terapii genowej polega na wprowadzeniu do komórek somatycznych osoby chorej prawidłowej wersji genu odpowiedzialnego za wywołanie choroby. Terapii nie prowadzi się jednak w odniesieniu do wszystkich komórek ciała, a jedynie tych tkanek, w których zachodzi ekspresja danego genu i których wadliwe działanie związane jest z wywołaniem stanu chorobowego.

Istotnym aspektem prawidłowo przeprowadzonej terapii genowej jest zdolność do namnażania się komórek, do których wprowadzono prawidłową wersję genu. Jeżeli komórki te nie mają takiej zdolności lub jest ona utrzymana tylko przez określony czas, to niestety efekt terapii nie będzie trwały. Prawidłowa wersja genu musi zostać utrzymana w organizmie i przekazana komórkom potomnym. Dlatego też modyfikacje prowadzi się w komórkach somatycznych, najczęściej macierzystych, występujących w danej tkance i dających początek kolejnym pokoleniom komórek.

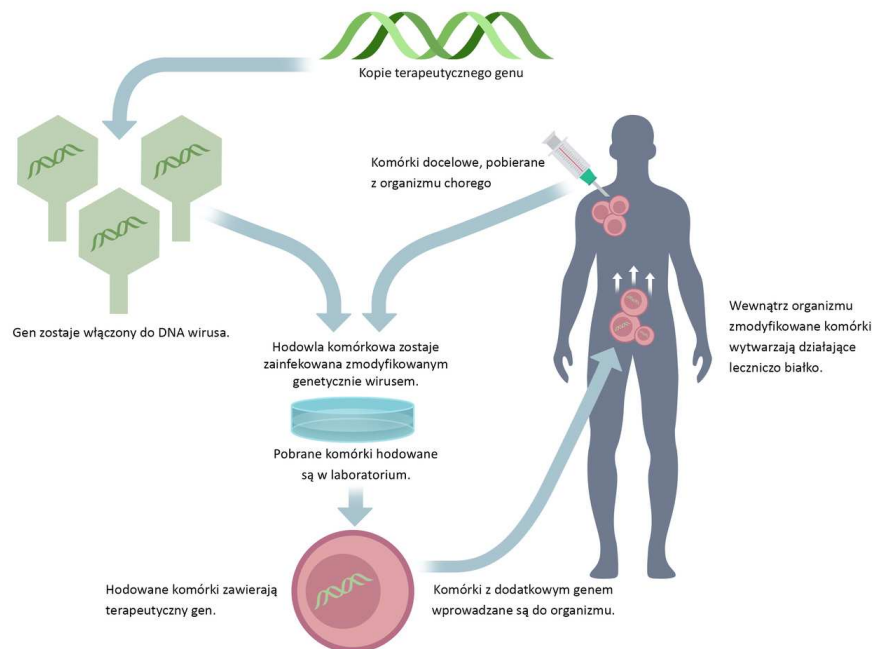
Metody terapii genowej: *ex vivo* i *in vivo*

Terapię genową można przeprowadzić na dwa sposoby: *ex vivo* i *in vivo*.

Ex vivo

Terapia ta polega na pobraniu od pacjenta komórek somatycznych, najczęściej macierzystych (np. szpiku kostnego), czyli na **izolacji komórek**, oraz na wprowadzeniu do

nich prawidłowego allelu w warunkach laboratoryjnych, czyli na **modyfikacji genetycznej**. Nowa wersja genu zastępuje gen nieprawidłowy. Tak zmodyfikowane komórki są następnie wprowadzane do miejsca docelowego w ciele chorego. Procedura ta jest szczególnie skuteczna w przypadku modyfikacji komórek szpiku czy krwi.



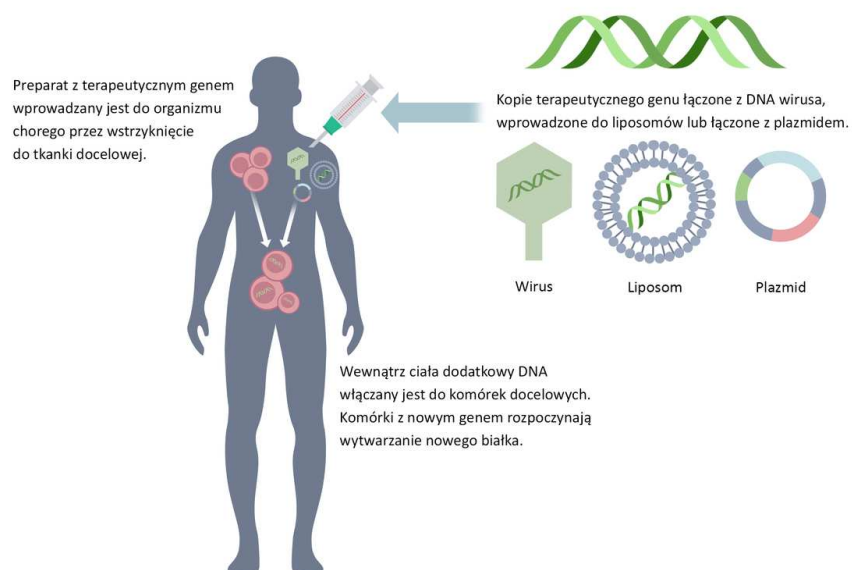
Terapia genowa *ex vivo*.

Źródło: Englishsquare.pl Sp. z o.o., licencja: CC BY-SA 3.0.

In vivo

Terapia ta polega na wprowadzeniu fragmentu DNA zawierającego prawidłową wersję genu bezpośrednio do docelowych komórek w ciele pacjenta. W tym celu wykorzystywane są specjalne wektory genetyczne, które dostarczają gen do komórek. Jako wektory mogą być stosowane zmodyfikowane wirusy lub **liposomy**, czyli struktury otoczone dwuwarstwą lipidową, do których wprowadza się prawidłowy allel.

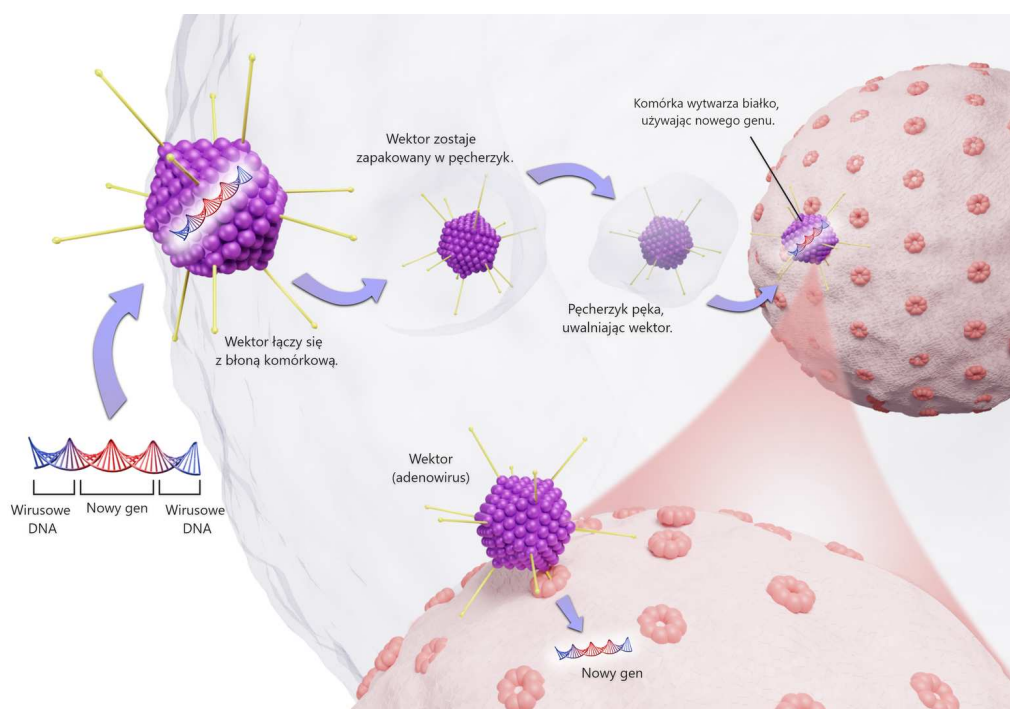
Zmodyfikowane komórki somatyczne działają właściwie: prowadzą ekspresję genów i produkują prawidłowe białka.



Terapia genowa *in vivo*.

Źródło: Englishsquare.pl Sp. z o.o., licencja: CC BY-SA 3.0.

Wektory genetyczne w terapiach *in vivo*



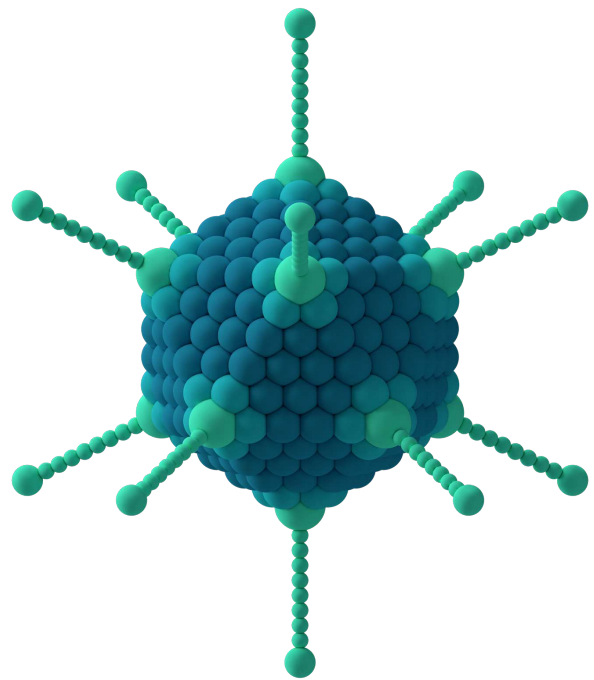
Terapia genowa z użyciem adenowirusa jako wektora.

Źródło: Englishsquare.pl Sp. z o.o., licencja: CC BY-SA 3.0.

Wektory genetyczne to najczęściej koliste cząsteczki DNA plazmidów i wirusów mające zdolność do wnikania i autonomicznej replikacji w danym typie komórki. Zapewniają ochronę i powielenie fragmentów obcego DNA (klonowanie) wprowadzonych metodami inżynierii genetycznej do komórki biorcy (gospodarza), a także – w wielu przypadkach – wydają ekspresję zawartych w nim genów, pochodzących z różnych organizmów.

W celu wprowadzenia DNA do komórek bakterii i niższych eukariontów (np. drożdży) stosuje się najczęściej trzy typy wektorów genetycznych:

- **poходne plazmidów** – **plazmid** to cząsteczka pozachromosomowego DNA występująca w cytoplazmie komórki, zdolna do autonomicznej replikacji;
- **bakteriofagi** – czyli wirusy, których naturalnym gospodarzem są bakterie;
- **kosmidy** – powstające przez połączenie plazmidów z sekwencją *cos* bakteriofaga λ, czyli sekwencją odpowiedzialną za pakowanie DNA w kapsyd wirusa. Umożliwia to zapakowanie rekombinacyjnych kosmidów w układzie *in vitro* w kapsydy bakteriofaga λ. Rozwiązanie to zostało opracowane specjalnie do klonowania dużych genów czy konstruowania banków genów.



W terapiach wykorzystuje się zmodyfikowane cząsteczki np. adenowirusów, które mogą wprowadzać DNA kodujący lecznicze białka.

Źródło: Thomas Splettstoesser, Wikimedia Commons, licencja: CC BY-SA 4.0.

W ostatnich latach skonstruowano też **wektory drożdżowe i wektory bakteryjne**, zwane sztucznymi chromosomami

(drożdżowy – **YAC**, ang. *yeast artificial chromosome*; bakteryjny – **BAC**, ang. *bacterial artificial chromosome*). Sztuczne chromosomy zostały stworzone na podobieństwo ludzkich chromosomów i są wykorzystywane w projektach sekwencjonowania genomów wyższych eukariontów do klonowania bardzo dużych fragmentów DNA (kilkaset tysięcy par zasad) oraz tworzenia map fizycznych ich chromosomów.

Słownik

bakteriofag, fag

(gr. *baktêrion* – laseczka, *phageîn* – pożerać) wirusy, których naturalnym gospodarzem są bakterie

kosmidy

wektory genetyczne powstające przez połączenie plazmidów z sekwencją *cos* bakteriofaga λ – odpowiedzialną za pakowanie DNA w kapsyd wirusa

liposomy

koliste struktury otoczone dwuwarstwą lipidową, pełniące funkcję nośnika do wprowadzania różnych substancji do komórek

plazmid

cząsteczka pozachromosomowego DNA występująca w cytoplazmie komórki, zdolna do autonomicznej replikacji

retrowirusy

rodzaj wirusów, u których informacja genetyczna zawarta jest w kwasie rybonukleinowym

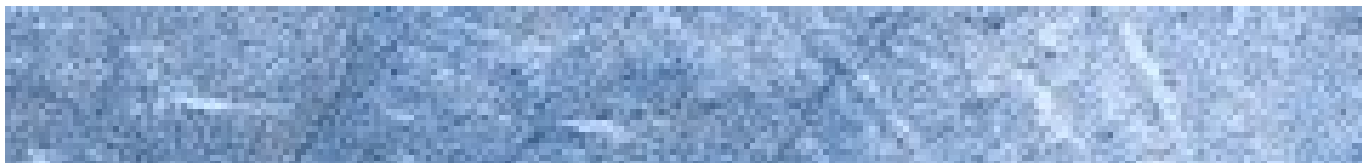
wektor genetyczny

cząsteczka DNA zdolna do replikacji w komórce gospodarza, stosowana w inżynierii genetycznej; można do niej wprowadzić fragment innej cząsteczki DNA (gen), tworząc zrekombinowany DNA, który po wprowadzeniu do komórek gospodarza będzie w nich powielany

Gra edukacyjna

Polecenie 1

Sprawdź, co wiesz na temat procedury terapii genowej.



Test

Sprawdź swoją wiedzę

Poziom trudności:

łatwy

Limit czasu:

4 min

Twój ostatni wynik:

—

Uruchom

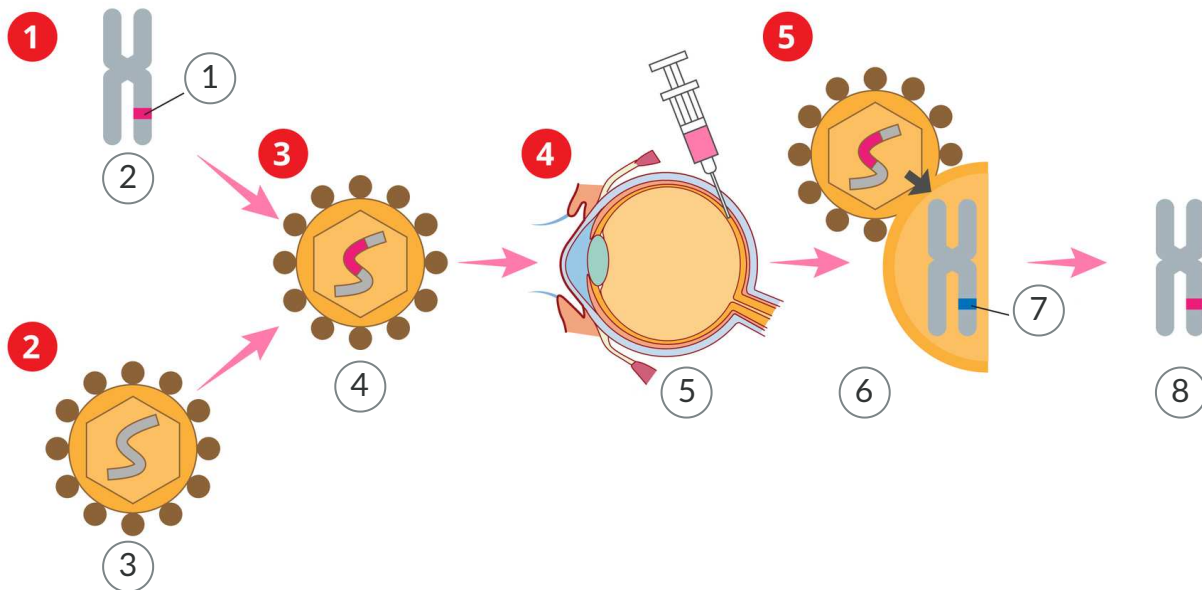
Polecenie 2

Na podstawie informacji zawartych w sekcji „Przeczytaj” oraz własnej wiedzy oceń prawdziwość stwierdzenia: „Terapię genową prowadzi się w odniesieniu do wszystkich komórek ciała, nie tylko tych tkanek, w których zachodzi ekspresja nieprawidłowego genu”.

Polecenie 3

Na podstawie informacji zawartych w sekcji „Przeczytaj” wyjaśnij, dlaczego w terapii *ex vivo* nie używa się wektorów genetycznych.

Grafika interaktywna



1

Skopiowanie prawidłowego genu *RPE65*

2

Ludzki chromosom

3

Adenowirus zawiera DNA

4

Wprowadzenie genu *RPE65* do DNA wirusa

5

Wszczepienie zmodyfikowanych wirusów do komórek siatkówki

6

Pokonanie przez wirus bariery ochronnej komórki i umieszczenie w niej zmodyfikowanego DNA

7

Uszkodzony gen *RPE65*

8

Zastąpienie uszkodzonego genu przez prawidłowy gen

Źródło: Andrzej Bogusz, licencja: CC BY-SA 3.0.

Polecenie 1

Zapoznaj się z grafiką interaktywną i wskaż, który rodzaj terapii został na niej przedstawiony: *ex vivo* czy *in vivo*. Odpowiedź uzasadnij.

Polecenie 2

Wyjaśnij, na czym polega mechanizm działania wstrzykiwanych do organizmu chorego zmodyfikowanych genetycznie adenowirusów.

Dla nauczyciela

Autor: Anna Juwan

Przedmiot: Biologia

Temat: Procedura terapii genowej

Grupa docelowa: uczniowie III etapu edukacyjnego – kształcenie w zakresie podstawowym i rozszerzonym

Podstawa programowa:

Zakres podstawowy

Treści nauczania – wymagania szczegółowe

VIII. Biotechnologia. Podstawy inżynierii genetycznej. Uczeń:

- 9) przedstawia sytuacje, w których zasadne jest korzystanie z poradnictwa genetycznego;
- 10) wyjaśnia istotę terapii genowej;

Zakres rozszerzony

Treści nauczania – wymagania szczegółowe

XV. Biotechnologia. Podstawy inżynierii genetycznej. Uczeń:

- 11) przedstawia sytuacje, w których zasadne jest korzystanie z poradnictwa genetycznego;
- 12) wyjaśnia istotę terapii genowej;

Kształtowane kompetencje kluczowe:

- kompetencje cyfrowe;
- kompetencje osobiste, społeczne i w zakresie umiejętności uczenia się;
- kompetencje matematyczne oraz kompetencje w zakresie nauk przyrodniczych, technologii i inżynierii.

Cele operacyjne (językiem ucznia):

- Wyjaśnisz, na czym polega terapia genowa.
- Omówisz sposoby prowadzenia terapii genowej.
- Przedstawisz, czym są wektory genetyczne.

Strategie nauczania:

- konstruktywizm;
- konektywizm.

Metody i techniki nauczania:

- z użyciem komputera;
- rozmowa kierowana;
- ćwiczenia interaktywne;
- gra dydaktyczna;
- analiza grafiki interaktywnej;
- mapa myśli.

Formy pracy:

- praca w parach;
- praca w grupach;
- praca całego zespołu klasowego.

Środki dydaktyczne:

- komputery z głośnikami, słuchawkami i dostępem do internetu;
- zasoby multimedialne zawarte w e-materiale;
- tablica interaktywna/tablica, pisak/kreda.

Przed lekcją:

1. Uczniowie zapoznają się z treścią w sekcji „Przeczytaj”.

Przebieg lekcji

Faza wstępna:

1. Nauczyciel wyświetla i odczytuje temat lekcji oraz zawarte w sekcji „Wprowadzenie” cele zajęć. Prosi uczniów lub wybraną osobę o sformułowanie kryteriów sukcesu.
2. **Wprowadzenie do tematu.** Nauczyciel zadaje uczniom pytanie: „Czym jest terapia genowa? Na czym ona polega?”. Uczniowie w parach, korzystając z tekstu w sekcji „Przeczytaj”, opracowują odpowiedź. Wybrane osoby przedstawiają ją na forum klasy.

Faza realizacyjna:

1. **Praca z multimedium („Gra edukacyjna”).** Uczniowie dzielą się na zespoły i rozwiązują pytania quizowe. Nauczyciel wraz z uczniami określa zasady rywalizacji i punktowania dobrych odpowiedzi (np. gra na czas lub na liczbę poprawnych odpowiedzi). Przeprowadzenie gry w klasie. Nauczyciel lub wybrany uczeń dba o prawidłowy

przebieg quizu zgodnie z wcześniejszymi ustaleniami. Nauczyciel ogłasza zwycięską drużynę.

2. **Praca z drugim multimedium („Grafika interaktywna”).** Uczniowie zapoznają się z materiałem, a następnie w parach opracowują odpowiedzi do poleceń: nr 1 („Wskaż, który rodzaj terapii został przedstawiony na grafice: *ex vivo* czy *in vivo*. Odpowiedź uzasadnij”) oraz nr 2 („Wyjaśnij, jaka jest przewidywalna konsekwencja podania zmodyfikowanych genetycznie adenowirusów”). Po wyznaczonym przez nauczyciela czasie wybrane osoby odczytują swoje propozycje. Nauczyciel komentuje rozwiązania uczniów.

Faza podsumowująca:

1. Klasa wspólnie wykonuje mapę myśli podsumowującą zajęcia.
2. Nauczyciel prosi uczniów o rozwinięcie zdań: „Dziś nauczyłem/nauczyłam się...”, „Zrozumiałem/zrozumiałam, że...”, „Zaskoczyło mnie...”, „Dowiedziałem/dowiedziałam się...”.

Praca domowa:

1. Wykonaj polecenia nr 2 i 3 z sekcji „Gra edukacyjna”.

Materiały pomocnicze:

- Jane B. Reece i in., „Biologia Campbella”, tłum. K. Stobrawa i in., Dom Wydawniczy REBIS, Poznań 2021.
- „Encyklopedia szkolna. Biologia”, red. Marta Stęplewska, Robert Mitoraj, Wydawnictwo Zielona Sowa, Kraków 2006.

Dodatkowe wskazówki metodyczne:

- Nauczyciel może wykorzystać medium zamieszczone w sekcji „Gra edukacyjna” do podsumowania lekcji.