

GEN TEDAVİSİ (GEN TERAPİ)

13

Dr. Öğr. Üyesi Şule ÖZDAŞ¹

1. Giriş

Günümüzde pekçok hastalığın tedavisinde geleneksel yöntemler kullanılmakla beraber, farmakolojik tedavi yöntemlerini kullanamadığımız hastalıklar da bulunmaktadır. Özellikle genlerdeki bozukluklara bağlı olarak ortaya çıkan, bu genlerin kodladığı proteinlerin bozuk veya işlevsiz olması nedeniyle gelişen hastalıklar güncel tedavi yöntemleri ile tedavi edilemeyen, “Nadir Hastalıklar” olarak sınıflandırılır ve bu hastalıkların tedavisi ancak bu gen defektlerinin düzeltilmesi ile mümkün olabilir. Bu noktadan yola çıkarak ortaya atılan ve genetik temelli hastalıkları tedavi etme ya da fiziksel etkilerini azaltma amacıyla hastanın vücuduna sağlıklı genetik materyalin sokulması fikri, tıp tarihindeki en önemli devrimlerden birisi olmuştur. Bu fikir sonucu ortaya çıkan “Gen Tedavisi” genel anlamda, genetik temele dayanan bir hastalığı tedavi etmek veya bozuk olan proteinin neden olduğu klinik durumu düzeltmek amacıyla doğru şifreleri içeren genetik materyalin çeşitli yöntemler kullanılarak hastaya transfer edilmesi olarak tanımlanabilir. İlk başlarda genetik hastalıkların tedavisi amacıyla planlanan gen tedavisi artık sadece genetik hastalıkları değil aynı zamanda kanser, AIDS gibi diğer pek çok hastalığın tedavisi için de kullanılmaya başlanmıştır.

İnsan Genom Projesinin tamamlanmasıyla genlerin tanımlanması ve genetik mühendisliğinde kaydedilen önemli gelişmeler sonunda bilim insanları artık hastalıklarla savaşılabilmek ve onlardan korunabilmek için genetik materyali değiştirmeyi başarmışlardır. gen tedavisi’nin temel amacı, hücrelerin hastalığa

¹ Dr.Öğr.Üyesi Demiroğlu Bilim Üniversitesi Tıp Fakültesi Tıbbi Biyoloji ve Genetik Anabilim Dalı