

Vad är cell- och genterapier? ^[1]

Upptäck ^[2]

Gener är en beståndsdel i DNA

Varje människa har cirka 20 000 gener och två uppsättningar av varje gen – en från vardera förälder. Små variationer i generna avgör en människas utseende och potentiellt också hälsa.¹

Vad är genetiska sjukdomar?

Genetiska sjukdomar utvecklas när en viktig del eller hel DNA-sekvens byts ut, tas bort eller dupliceras.² Sådana förändringar kallas genetiska mutationer.³

Vissa allvarliga genetiska sjukdomar som orsakas av mutationer är ärftliga.⁴

Hur kan cell- och genterapier bota genetiska sjukdomar?

Cell- och genterapier är överlappande fält inom biomedicinsk forskning och behandling.⁶ Båda terapierna syftar till att behandla, förebygga eller potentiellt bota sjukdomar, och båda metoderna har potential att komma åt de underliggande orsakerna till genetiska och förvärvade sjukdomar.⁶ Men cell- och genterapier fungerar på olika sätt.

Skillnaden mellan cellterapi och genterapi:

Cellterapi syftar till att behandla sjukdomar genom att man med hjälp av celler reparerar eller förändrar andra celler i kroppen.⁵ Cellerna odlas eller modifieras då utanför kroppen innan de injiceras i patienten. Dessa celler kan komma från patienten (autologa celler) eller en givare (allogena celler).⁶

Genterapi syftar till att behandla sjukdomar genom att man byter ut, inaktiverar eller introducerar nya gener i celler – antingen inuti kroppen (in vivo) eller utanför (ex vivo).⁶

Vissa terapier anses vara både cell- och genterapier. I dessa fall modifierar man specifika typer av celler och för sedan in dem i kroppen.

[Ladda ner infografik \(PDF\) ?](#) ^[3]

Referenser

1. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene? Tillgänglig på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene> ^[4]. Senast läst april 2019.
2. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What kinds of gene mutations are possible? Tillgänglig på: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>

- [5]. Senast läst april 2019.
3. National Institutes of Health (NIH) U.S. National library of medicine. What is a gene mutation and how do mutations occur? Tillgänglig på:
<https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation> [6]. Senast läst april 2019.
 4. World Health Organization. Genes and human diseases. Tillgänglig på:
<http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html> [7]. Senast läst april 2019.
 5. Friedman T. A brief history of gene therapy. Nat Genet. 1992; 2: 93-98.
 6. American Society of Gene & Cell Therapy. Different approaches. Tillgänglig på:
<https://www.asgct.org/education/different-approaches> [8]. Senast läst april 2019.

Source URL: <https://www.novartis.se/stories/upptaeck/vad-aer-cell-och-genterapier-0>

Links

- [1] <https://www.novartis.se/stories/upptaeck/vad-aer-cell-och-genterapier-0>
- [2] <https://www.novartis.se/stories/upptack>
- [3] <https://www.novartis.se/sites/www.novartis.se/files/Vad%20%C3%A4r%20cell-%20och%20genterapier%202021%2002%2001.pdf>
- [4] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>
- [5] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>
- [6] <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>
- [7] <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>
- [8] <https://www.asgct.org/education/different-approaches>