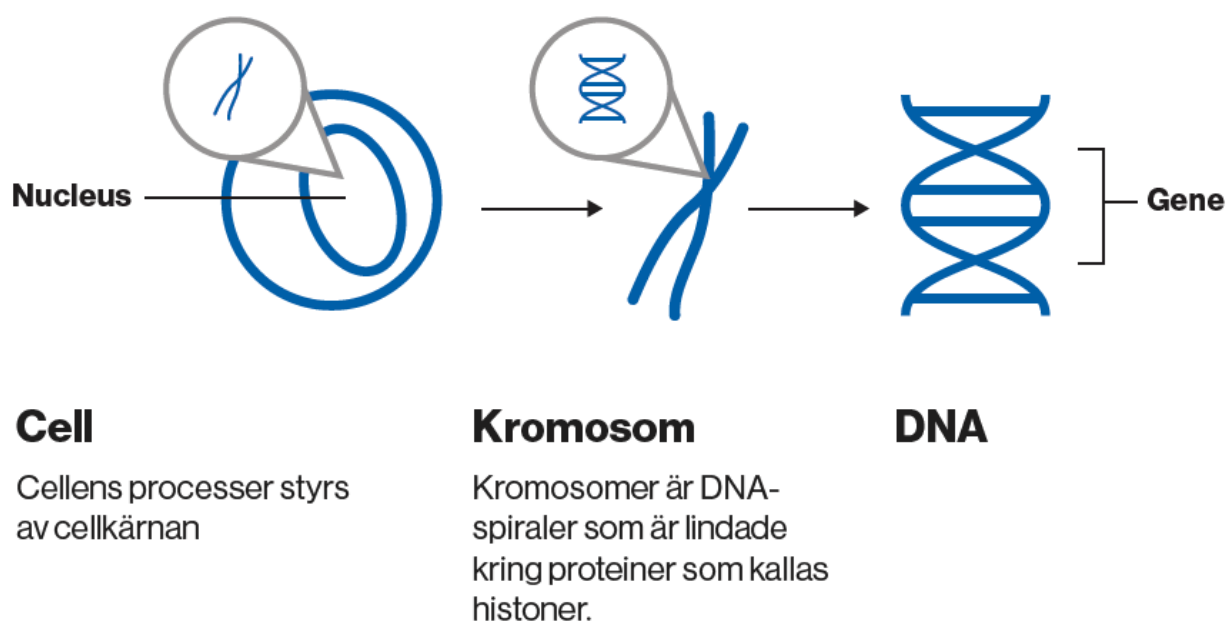


Vad är cell- och genterapier?

Cellerna är byggstenarna i allt levande och inuti cellerna finns gener. Gener är små DNA-sekvenser som innehåller genetisk information och instruktioner om hur proteiner ska formas, för att kroppen ska byggas upp och fungera.¹

Jan 13, 2021



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 0.1 MB) →

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>. 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>. 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>. Senast läst april 2019.
4. World Health Organization. Genes and human diseases. Tillgänglig på: <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>. 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>. Senast läst april 2019.

Source URL: <https://www.novartis.com/se-se/stories/vad-ar-cell-och-genterapier>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/se-se/se-se/stories/vad-ar-cell-och-genterapier>
- <https://www.novartis.com/se-se/taxonomy/term/46>
- https://www.novartis.com/se-se/se-se/sites/novartis_se/files/Vad%20%C3%A4r%20cell-%20och%20genterapier%202021%2002%2001.pdf
- <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>
- <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/possiblemutations>
- <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/mutationsanddisorders/genemutation>
- <http://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases/en/index2.html>
- <https://www.asgct.org/education/different-approaches>