- зависимости влияния процессов изготовления, износа и старения на значения параметров ЭПК, влияющих на технические характеристики;
- 6. Учет влияния процесса изготовления основывается на использовании постоянно обновляемой и пополняемой базы данных разброса отклонений геометрических и других, зави-

сящих от технологии, параметров от номинальных значений.

По результатам исследований построена методика оценки параметрической надежности электропневмоклапанов, используемых в ракетной технике. Методика является основой при оценке возможности продления сроков эксплуатации изделий газоавтоматики указанного типа.

# о. Тенерифе (Испания) 19-26 ноября 2010 г.

### Современные наукоемкие технологии

## Медицинские науки

#### ПРОБЛЕМЫ И ПЕРСПЕКТИВЫ ГЕННОЙ ТЕРАПИИ

#### Парахонский А.П.

Медицинский институт высшего сестринского образования, Кубанский медицинский институт, Краснодар, Россия

За последние десятилетия появился совершенно новый подход к лечению заболеваний. Этот подход носит название генная терапия. Принципиальное отличие нового способа лечения от традиционных состоит в том, что он направлен на устранение первопричины заболевания, а не её следствий. На современном этапе генную терапию можно определить как лечение наследственных и ненаследственных заболеваний путём введения генов в клетки пациентов с целью направленного изменения генных дефектов или придания клеткам новых функций. Лечение заболеваний на генном уровне представляет собой весьма заманчивую перспективу. Но, как и любое вмешательство в организм человека, оно может привести к абсолютно непредсказуемым результатам. За полувековой период развития данной области медицины был накоплен как положительный, так и отрицательный опыт использования генотерапии. Тем не менее, нельзя однозначно сказать, является ли терапия на уровне генов благом или непоправимой ошибкой. В данной работе рассмотрены основные аспекты генотерапии, приведены примеры успехов и неудач, сопутствующих становлению этой области. С момента своего зарождения концепция генной терапии вызывала множество споров. Сторонники преобразования организма на уровне генов утверждали, что за данным видом лечения стоит будущее медицины. Противники же приводили ряд опасений, основанных на том, что человек слишком мало знает, чтобы вмешиваться в епархию Бога. По прошествии нескольких десятков лет споры не только не утихли, но и разгорелись с новой силой, оппоненты получили весомые аргументы, основанные на победах и поражениях исследователей в этой области.

Генная терапия достигла некоторых успехов в борьбе с опухолевыми заболеваниями. К настоящему моменту разработаны несколько основных подходов. Прежде всего, это нормализация работы онкогенов и супрессоров опухолей. Не менее перспективным представляется и другой подход, связанный с обучением иммунной системы распознавать антигены раковых клеток. На этом принципе основано создание противоопухолевых вакцин. Так, для лечения рака простаты широко применяют стратегию замены генов-супрессоров опухолей p53, H-ras, Rb, p21, антисмысловые олигонуклеотиды к гену Bcl2 (для супрессии антиапоптотических генов), традиционные гены-самоубийцы (вирусная тимидинкиназа или цитозин-дезаминаза), а также гены, корректирующие чувствительность опухолевых клеток к андрогенам. Не менее перспективным представляется и другой подход, связанный с обучением иммунной системы распознавать антигены раковых клеток. Поскольку иммунная система не способна сама распознавать и элиминировать раковые клетки, задача учёных сводится к приданию ей этих свойств. На этом принципе основано создание противоопухолевых вакцин.

Ощутимые результаты получены в области нейродегенеративных заболеваний, таких как болезнь Паркинсона, хорея Гентингтона и др. В данном случае принцип генотерапев-

тического вмешательства, находящегося на стадии клинических испытаний, основан на введении в определённые подкорковые отделы мозга культуры клеток, синтезирующих набор белков, которые препятствуют дегенерации нервных клеток. Кроме того, нельзя не отметить достижения генотерапевтических подходов в лечении ВИЧ-инфицированных больных, в кардиологии, а также в ряде других заболеваний.

Потрясающие успехи генной терапии сопровождают и весомые неудачи. В 2003 году FDA приняло решение о временном прекращении клинических испытаний с использованием ретровирусов на стволовых клетках крови. Причиной послужило развитие лейкемии у двух из десяти детей, подвергнутых терапии тяжелого комбинированного иммунодефицита (SCID). Было выяснено, что побочный эффект является следствием того, что вирус, использованный для доставки терапевтического гена, активировал онкоген. В апреле 2004 года FDA, учитывая достигнутые успехи этого вида генной терапии, все же ослабило запрет на её проведение, разрешив применение ретровирусных векторов для лечения тех больных, для которых другие способы оказались неэффективны.

Генная терапия способна дать человечеству мощный инструмент для перехода медицины на совершенно новый уровень развития. Там, где методы традиционной медицины оказались бессильны, на помощь пришла генотерапия, дав возможность выздоровления неизлечимо больным. Тем не менее, нельзя отрицать, что, имея в своих руках такое мощное оружие, как способность изменять гены, человечество встаёт перед проблемой грамотного использования этой технологии. Уже сейчас теоретически вполне возможны модификации генома с целью улучшения некоторых физических, психических и интеллектуальных параметров. Современная наука на своём новом витке развития вернулась к идее улучшения человеческой породы, что само по себе опасно.

При использовании генной терапии непременно должно соблюдаться условие: все генотерапевтические мероприятия должны быть направлены только на конкретного больного, и касаться только соматических клеток. Современный уровень знаний не позволяет проводить коррекцию генетических дефектов в клетках зародышевого пути в виду опасности засорения генофонда нежелательными искусственными генными конструкциями или вне-

сением мутаций с непредсказуемыми последствиями для будущего человечества. Генная терапия представляет собой достаточно дорогостоящее лечение, которое вряд ли удастся сделать доступным широким массам. Кроме того, применение генной терапии к клеткам зародышевого пути ущемляет право будущих поколений на наследование природного немодифицированного генома.

Наличие трудностей, связанных с разработкой и внедрением генотерапевтических подходов, существенно тормозит развитие этой отрасли. Накапливается множество примеров разных эффектов применения одной и той же терапии на животных и человека. Например, введение аденовирусных векторов экспериментальным животным сопровождается быстрой продукцией противовирусных антител, в то время как для человека такой острый иммунный ответ не характерен. Бывают и обратные ситуации. Так у одного из пациентов с муковисцидозом, которому в дыхательные пути вводили аденовирусный вектор с CFTR (трансмембранный регулятор муковисцидоза), развился воспалительный синдром, хотя у мышей при дозах препарата на три порядка выше никаких побочных эффектов не

Таким образом, терапевтический потенциал геномных преобразований поистине огромен, однако, не следует забывать о подстерегающих опасностях. Наряду с разработкой методологической экспериментальной базы для генотерапии, следует обратить внимание на решение ряда вопросов социального и этического характера. Несмотря на почти полувековую историю развития генной терапии, данная отрасль всё ещё находится на начальном этапе своего становления. С момента возникновения она приковывала к себе внимание людей по всему миру. Проникнув в область, ранее не доступную человечеству, генная терапия открыла фантастические перспективы. Она наделила людей способностью вносить изменения на уровне генов, дав им возможность победить ранее неизлечимые заболевания. Однако вместе с тем, генотерапия подарила человечеству мощное и опасное оружие, способное принести больше вреда, чем пользы. Учёным предстоит прояснить ещё множество аспектов научного, этического, социального и экономического характера. Никто не знает, какие открытия ещё предстоят и что они принесут с собой. Тем не менее, не вызывает сомнений, что за развитием генотерапевтических подходов к лечению болезней стоит будущее.