

# Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2520,Terapie-genowe-w-badaniach-klinicznych.html>  
03.05.2024, 08:05

## Terapie genowe w badaniach klinicznych

Terapia zaawansowana odnosi się do innowacyjnych technologii stosowanych w leczeniu różnych chorób. W kontekście terapii zaawansowanej mówi się o produktach leczniczych: terapii genowej, terapii komórkowej oraz inżynierii tkankowej, których zastosowanie ma na celu skuteczne i indywidualne podejście do pacjenta. Wprowadzenie terapii zaawansowanej otwiera nowe perspektywy w leczeniu chorób, zwłaszcza tych, które dotychczas były trudne do skutecznego kontrolowania. Tego rodzaju terapie podlegają ścisłym regulacjom i badaniom klinicznym przed wprowadzeniem do powszechnego stosowania.

Terapia genowa jest eksperymentalną metodą leczenia, w ramach której wprowadza się obce kwasy nukleinowe, takie jak DNA lub RNA, do komórek organizmu. Poprzez przekazanie informacji genetycznej zawartej we wprowadzonym materiale, terapia genowa modyfikuje wadliwy zapis genetyczny chorego. Głównym celem terapii genowej jest wyeliminowanie bezpośredniej przyczyny choroby. Produkty lecznicze terapii genowej mają zatem za zadanie wprowadzić określoną modyfikację genetyczną do organizmu, np. poprzez naprawę uszkodzonego genu lub wprowadzenie kopii nowego genu. Najczęściej wykorzystywane są w leczeniu chorób genetycznych oraz w terapii onkologicznej. Terapie genowe dają nadzieję pacjentom żyjącym z rzadkimi lub trudnymi w leczeniu chorobami.

W ostatnim czasie został przeprowadzony pierwszy w Polsce zabieg chirurgiczny oka z wykorzystaniem nowatorskiej terapii genowej GT005 w ramach badania klinicznego II fazy. Terapia została zastosowana w leczeniu zaniku geograficznego, który jest zaawansowaną postacią zwyrodnienia plamki żółtej w oku związanego z wiekiem (ang. AMD - Age Related Macular Degeneration). Operacja polegała na wstrzyknięciu w tylną część oka pod siatkówkę jednorazowej dawki preparatu.

Nowatorska terapia genowa GT005 została opracowana na podstawie badań, które jednoznacznie wskazują, że geny pełnią kluczową rolę w predyspozycji do wystąpienia AMD. Celem terapii genowej GT005 jest wspomaganie produkcji naturalnego „regulatora” białka zwanego czynnikiem I dopełniacza (CFI). Terapia opiera się na założeniu, że zwiększenie poziomu CFI w oku może efektywnie redukować stan zapalny. Taka interwencja może spowolnić postęp zwyrodnienia plamki żółtej, co w konsekwencji przyczynia się do zahamowania procesu rozwoju choroby i obniżenia ryzyka utraty wzroku.

Badania kliniczne odgrywają kluczową rolę w rozwoju terapii genowych, wpływając przede wszystkim na aspekty ich skuteczności, bezpieczeństwa i dostępności. Monitorowanie działań niepożądanych i ewaluacja skuteczności są kluczowe dla uzyskania danych klinicznych, które pomagają w ocenie, czy dana terapia będzie dla pacjentów bezpieczna. Identyfikacja optymalnych dawek terapeutycznych oraz ustalenie odpowiednich schematów leczenia wpływają na skuteczność terapii. Ocena nowych technologii związanych z terapiami genowymi prowadzi do doskonalenia istniejących terapii lub

rozwijania nowych podejść. Badania kliniczne terapii genowych uwzględniają także badania oceniające skutki zastosowania terapii genowej w połączeniu z innymi metodami leczenia, takimi jak immunoterapia czy chemioterapia.

#### Bibliografia:

- Źródło internetowe: <https://www.eurogct.org/pl/jakie-choroby-mozna-obecnie-leczyc-wykorzystujac-terapie-genowe-i-komorkowe>
- Źródło internetowe: <https://pzn.org.pl/zastosowanie-terapii-genowej-dla-pacjenta-z-amd/>

Autorka: Martyna Słowik

[Poprzedni Strona](#)

[Następny Strona](#)