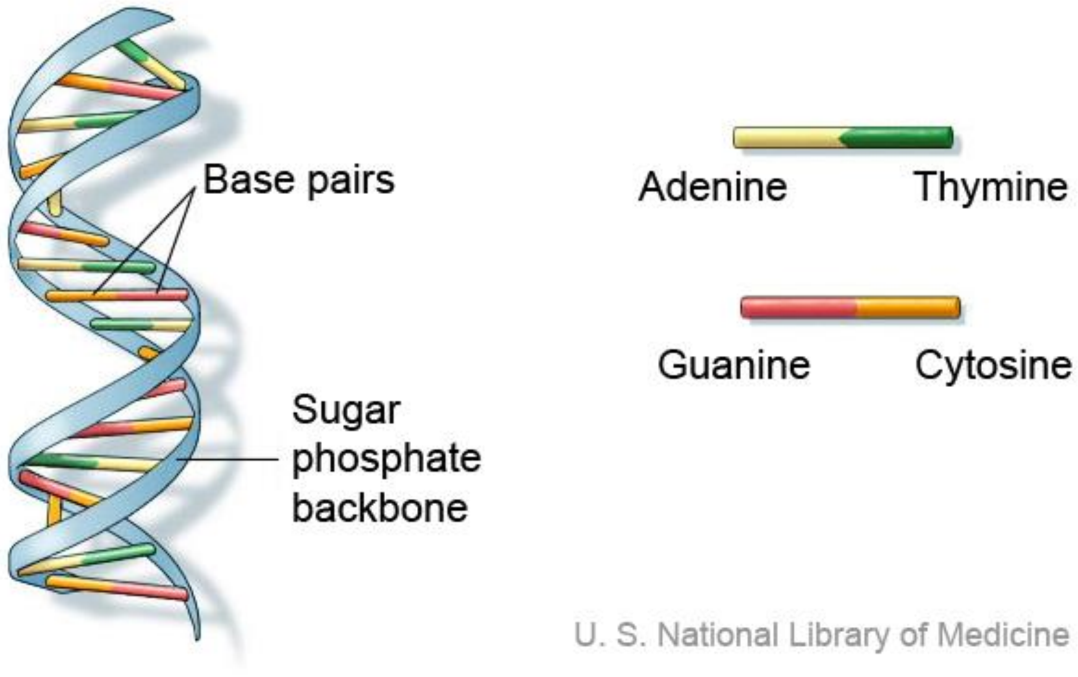
Terapija ġenetika

Indiċi

- 1 Riżorsi addizzjonali
- 2 Referenzi

Terapija ġenetika (bl-Ingliż: *gene therapy*) hija mod kif trodd lura l-funzjoni liċ-ċelluli f'każi fejn ikun hemm ġeni neqsin jew mhux qed jaħdmu kif suppost. Il-ġeni jkun fihom l-informazzjoni kollha meħtieġa għall-bini u ż-żamma taċ-ċelluli u din l-informazzjoni tkun maħżuna bħala kodiċi fid-DNA (*deoxyribonucleic acid*) – il-materjal ereditarju li nsibu fil-bniedem u kważi f'kull organiżmu ieħor. In-nukleu ta' kull ċellula jkun fih tlieta u għoxrin par ta' kromosomi, fejn ikun hemm eluf ta' ġeni. Ċertu mard jiġi kkawżat minn tibdiliet żgħar li jseħħu fid-DNA tal-ġeni tagħna, magħrufin bħala varjazzjonijiet ġenetiċi. Dawn it-tibdiliet iseħħu meta l-informazzjoni kodifikata mill-ġeni tagħna tiġi kkupjata ħażin u dan jista' jwassal għall-produzzjoni ta' proteini difettużi li jikkawżaw il-mard. F'dan il-każ tintuża t-terapija ġenetika biex il-problema tiġi solvuta proprju fis-sors tagħha. Dan iwassal biex tessuti u organi morda jerġgħu jibdew jaħdmu kif suppost.



L-istruttura tad-DNA
Id-DNA għandu struttura qisha taraġ imdawwar bħal garigor. It-turġien jiġu ffurmati mill-bażijiet tan-*nucleotides* magħmulin min-nitroġenu. L-informazzjoni fid-DNA tkun maħżuna bħala kodiċi ffurmat minn erba' bażijiet kimiċi f'dan it-taraġ. Kull tarġa tkun iffurmata minn par (*base pairs*) – in-*nucleotide adenine* mat-*thymine,* u s-*cytosine* mal-*guanine.* In-*nucleotide base pairs* imbagħad jingħaqdu flimkien mal-ġnub bi struttura ta' *sugar phosphate* daqslikieku għandek sellum bl-iskaluni (il-*base pairs*) u l-ġnub (is-*sugar phosphate backbone*). (Sors: Librerija Nazzjonali Amerikana tal-Mediċina, ara riferenza nru 1).

Għalkemm it-terapija ġenetika hi teknika sperimentali li għadha fil-bidu tagħha, f'xi studji kliniċi diġà wriet li tipprometti. Dawn l-istudji saru fuq mard differenti fil-bniedem bħal dak marbut ma' defiċjenzi fis-sistema tal-immunità tal-ġisem (fejn is-sistema ma kinitx qed taħdem sew), distrofija muskolari (deterjorament progressiv tal-muskoli li jagħtu s-saħħa lill-ġisem biex jiċċaqlaq) u l-anemija (tnaqqis fin-numru jew il-funzjoni taċ-ċelluli l-ħomor tad-demm). Mill-1990 'l hawn saru 'l fuq minn 1,700 studju kliniku madwar id-dinja.

Il-kunċett tat-terapija ġenetika hu utli għal mard li jaffettwa ġene waħda, sew b'varjant waħdieni kif ukoll b'varjazzjonijiet diversi fl-istess ġene. F'mard li jinvolvi ħafna ġeni, dan il-kunċett hu ħafna aktar kumplikat u x'aktarx li ma jaħdimx.

Referenzi

1. Librerija Nazzjonali Amerikana tal-Mediċina. (2015). *Genetics Home Reference*. Miksub fis-17 ta' Ġunju, 2015 minn from http://ghr.nlm.nih.gov/