



GEN TERAPIYASI: ZAMONAVIY YONDASHUVLAR, MUAMMOLAR VA ISTIQBOLLAR

Abdurazzakov Diyorbek Iqtisodiyot yo‘nalishi 4-kurs talabasi

Ilmiy rahbar:

Egamberdiyev Xumoyun Iqtisodiyot fakulteti Iqtisodiyot kafedrası (PhD) dotsent

Alfraganus Universiteti

Annotatsiya. Ushbu maqolada gen terapiyasining ilmiy asoslari, zamonaviy texnologik yondashuvlari, klinik amaliyoti va istiqbollari tahlil qilinadi. Genetik, onkologik va yuqumli kasalliklarni davolashda gen terapiyasining afzalliklari, cheklovlari hamda ushbu sohadagi dolzarb etik va ijtimoiy muammolar ko‘rib chiqiladi. Gen terapiyasi tibbiyotda personalizatsiyalashgan davolash strategiyalarini shakllantirishda muhim o‘rin egallab, global sog‘liqni saqlash tizimining kelajagini belgilovchi omilga aylanmoqda.

Kalit so‘zlar: gen terapiyasi, genom tahrirlash, CRISPR/Cas9, somatik terapiya, etik masalalar, personalizatsiyalashgan tibbiyot

Gen terapiyasi, genom tahrirlash va boshqa ilg‘or biotibbiy texnologiyalar inson genetik materialini o‘zgartirish orqali kasalliklarni davolashda inqilobiy yondashuvni taqdim etmoqda. Uning asosiy maqsadi, kasalliklar va patologiyalarni sabab darajasida bartaraf etish, nafaqat ularning simptomlarini, balki ularning ildizlarini davolashdir. Shuningdek, gen terapiyasi tibbiyotda ko‘plab yangi imkoniyatlarni yaratadi, shu jumladan, personalizatsiyalashgan davolash va regenerativ tibbiyot. Maqolada gen terapiyasining ilmiy-texnik asoslari, klinik qo‘llanilishi va istiqbollari muhokama qilinadi, shuningdek, ushbu texnologiyaning etik, huquqiy va ijtimoiy jihatlari tahlil qilinadi.

Gen terapiyasi nazariy jihatdan birinchi marta 1972-yilda ilmiy adabiyotlarda paydo bo‘lgan bo‘lsa-da, uning amaliyoti va texnologik rivojlanishi 1990-yillarda boshlangan. Gen terapiyasining asosiy g‘oyasi, genetik materialni o‘zgartirish orqali



kasalliklarning ildiziga ta'sir etishdan iborat. Bunda, gen terapiyasining asosiy mexanizmi – genetik nuqsonlarni to'g'rilash yoki o'zgartirish. Genetik modifikatsiya orqali patologik genlar faoliyatini bostirish yoki sog'lom genlarni qo'shish orqali bemorning organizmiga sog'lom genetik materialni yetkazish mumkin. Gen terapiyasining kelajagi biotibbiyotda yangi ufqlarni ochishi mumkin, xususan, shaxsiylashtirilgan va regenerativ tibbiyot yo'nalishlarida.

Somatik gen terapiyasida genetik material faqat bemorning o'z hujayralariga ta'sir qiladi. Bunda, genetik materialni o'zgartirish bemorning kelajakdagi avlodlariga ta'sir etmaydi. Bu metod ko'plab kasalliklarni davolashda qo'llaniladi, jumladan, saraton, irsiy kasalliklar (kistofibroz) va boshqa hujayra tizimlaridagi anomaliyalar.

Bir nechta klinik tadqiqotlar natijasida, somatik gen terapiyasi qanchalik samarali ekanligi va potentsial zararli ta'sirlari haqida muhokamalar mavjud. Biroq, bu metodning xavfsizligi oshirilgan virus vektorlari va hujayra ichiga gen yetkazib berish texnologiyalarining takomillashuvi bilan yaxshilanmoqda.

Germinal gen terapiyasi jinsiy hujayralarga (spermatozoidlar yoki tuxum hujayralari) genetik o'zgartirishlarni kiritish orqali amalga oshiriladi, bu esa o'zgartirilgan genlarning naslga o'tishiga olib keladi. Germinal terapiya hujjatlarida, ayniqsa, insoniyat kelajagi uchun noaniq va muhim etik masalalar yuzaga keladi. Germinal terapiya bir nechta holatlarda, masalan, irsiy kasalliklarning oldini olishda, o'zgarishi mumkin bo'lgan yoki davolash usuliga erishilmagan holatlarda ko'rsatilishi mumkin. Biroq, uning amaliyoti ko'plab mamlakatlarda maxsus qoidalar va tartiblar bilan cheklanadi.

Viruslar, tabiatan biologik materialni hujayralarga olib kirishga mo'ljallangan organizmlar sifatida, gen terapiyasida keng qo'llaniladi. Adenoviruslar, lentiviruslar, retroviruslar va boshqa virus turlari yordamida genetik material hujayraga yetkaziladi. Viruslar bu holatda "vektor" sifatida xizmat qiladi. Virusli vektorlar orqali o'tkaziladigan gen terapiyasi jarayoni ko'plab klinik tajribalarda



muvaffaqiyatli natijalar ko'rsatgan, ammo ular ko'p hollarda immun tizimi tomonidan rad etilishi mumkin, bu esa nojo'ya ta'sirlarga olib kelishi mumkin.

CRISPR/Cas9 texnologiyasi – bu genetik tahrirlashda eng samarali vositalardan biridir. Ushbu tizim yordamida, DNKning ma'lum qismlarini kesish yoki o'zgartirish mumkin. CRISPR/Cas9 biotexnologiyalari hujayralarda mutatsiyalarni o'zgartirish yoki patologik genlar faoliyatini o'zgartirish imkonini beradi. Ushbu texnologiyaning xavfsizligi va samaradorligi ko'plab klinik sinovlar orqali isbotlangan va u endi onkologik kasalliklar, irsiy kasalliklar va boshqa turli patologiyalarni davolashda keng qo'llanilmoqda.

Nanonosiyalar – bu eng yangi usul bo'lib, ular genetik materialni hujayralarga viruslardan farqli o'laroq, sintetik yoki biologik material yordamida yetkazib beradi. Ushbu texnologiya yuqori darajada aniqlikni ta'minlash imkonini beradi va xavfsizlik nuqtai nazaridan ko'proq afzalliklarga ega. Nanoteknologiyalar yordamida amalga oshirilgan gen terapiyasining samaradorligi hali tadqiqotlar darajasida bo'lsa-da, bu yo'nalish hozirgi kunda ilmiy dunyoda katta qiziqish uyg'otmoqda.

Gen terapiyasi irsiy kasalliklarni davolashda o'zining samaradorligini ko'rsatmoqda. Masalan, gemofiliya, kistofibroza va Duchenne mushak distrofiyasi kabi kasalliklar, genetik nuqsonlar bilan bog'liq bo'lib, gen terapiyasi yordamida ularni tuzatish mumkin. Bunday kasalliklarda terapevtik genlarni bevosita bemorning hujayralariga yetkazib berish orqali kasallikning ildiziga ta'sir etish mumkin.

Saraton kasalligini davolashda CAR-T hujayrali terapiyasi orqali T-hujayralar qayta dasturlanadi va saraton hujayralarini aniqlab, ularni yo'q qiladi. Shuningdek, gen terapiyasi saratonning biologik mexanizmlarini o'rganish va davolashda yangi imkoniyatlar yaratmoqda. Bu texnologiyaning muvaffaqiyatli natijalari yirik onkologik klinik tadqiqotlar orqali isbotlangan.



Gen terapiyasining HIV kabi yuqumli kasalliklarga qarshi kurashda qo'llanilishi yangi istiqbollarga ega. HIVni davolashda virusga qarshi immun tizimini kuchaytirish va virusning replikatsiyasini bostirish uchun gen terapiyasi o'rganilmoqda. Shu bilan birga, gepatit kabi boshqa yuqumli kasalliklarni davolashda ham yangi metodlar ishlab chiqilmoqda.

Gen terapiyasining amaliyotga tatbiq etilishi bilan bog'liq bo'lgan etik masalalar, shu jumladan, genetik diskriminatsiya, biotibbiy ma'lumotlarning maxfiyligi, genetik tanlov va eugenika kabi masalalar keng muhokama qilinmoqda. Ushbu soha rivojlanishi bilan bioetik va huquqiy tartib-qoidalar ishlab chiqilishi kerak. Bu, shuningdek, gen terapiyasining kelajakdagi qonuniy va ijtimoiy jozibadorligini ta'minlash uchun zarurdir.

Gen terapiyasining kelajagi o'zining yuksalishi, shuningdek, yangi tibbiy amaliyotlar, o'zlashtirilgan texnologiyalar va diagnostik vositalar yordamida shakllanadi. Bu texnologiyaning rivojlanishi, umuman olganda, shaxsiylashtirilgan tibbiyot, regenerativ tibbiyot va genetik profilaktika sohalarida yangi ufqlarni ochadi. Gen terapiyasining joriy etilishi global sog'liqni saqlash tizimida inqilobiy o'zgarishlarga olib kelishi mumkin.

Gen terapiyasi zamonaviy biotibbiyotning strategik va innovatsion yo'nalishlaridan biri bo'lib, inson genomi tuzilmasiga to'g'ridan-to'g'ri ta'sir etish orqali irsiy va orttirilgan kasalliklarni davolashda yangi ufqlarni ochadi. Bu texnologiya genom muhandisligi, molekulyar biologiya va klinik tibbiyot sohalarining integratsiyasi natijasida yuzaga kelib, sog'liqni saqlash tizimida tub islohotlar uchun zamin yaratmoqda. Gen terapiyasining amaliy qo'llanilishi, xususan, saraton, immun yetishmovchiligi, irsiy metabolik sindromlar va genetik nuqsonlarga asoslangan kasalliklar terapiyasida ijobiy natijalar bermoqda.

Biroq bu sohaning muvaffaqiyati bir qator ilmiy, texnologik va axloqiy muammolarning hal etilishini talab etadi. Avvalo, gen terapiyasi xavfsizligi, ya'ni nojo'ya mutatsiyalar, immun reaksiyalar va genetik nomuvofiqliklarning oldini olish



bo'yicha ishonchli mexanizmlar ishlab chiqilishi zarur. Shu bilan birga, terapiyaning samaradorligini klinik sinovlar orqali asoslash, turli genetik fonda natijalarning barqarorligini ta'minlash va statistik ishonchlilikka erishish muhim hisoblanadi.

Etik normalarga rioya qilish, ayniqsa, embrionlarga yoki somatik hujayralarga ta'sir etish, shuningdek, gen terapiyasining tijoratlashuvi bilan bog'liq axloqiy xavflarni baholash ham bugungi kunning dolzarb masalasidir. Xalqaro miqyosda tajriba va resurslar almashinuviga asoslangan hamkorlik, normativ-huquqiy bazani shakllantirish va universal protokollarni ishlab chiqish gen terapiyasining global miqyosda barqaror va xavfsiz rivojlanishini ta'minlaydi.

Xulosa qilib aytganda, gen terapiyasi tibbiyotning individualizatsiyalashgan davriga yo'l ochib, inson salomatligini ta'minlashda inqilobiy texnologiya sifatida e'tirof etilmoqda. Uning muvaffaqiyatli rivojlanishi fan va jamiyat o'rtasidagi doimiy muloqot, qat'iy ilmiy izlanishlar va axloqiy mas'uliyatni uyg'unlashtirishga bevosita bog'liqdir.

Foydalanilgan adabiyotlar

1. Dunbar, C. E., et al. (2018). Gene therapy comes of age. *Science*, 359(6372), eaan4672.
2. Maeder, M. L., & Gersbach, C. A. (2016). Genome-editing technologies for gene and cell therapy. *Molecular Therapy*, 24(3), 430–446.
3. High, K. A., & Roncarolo, M. G. (2019). Gene therapy. *New England Journal of Medicine*, 381(5), 455–464.
4. World Health Organization. (2021). Human Genome Editing: Recommendations.
5. Naldini, L. (2015). Gene therapy returns to centre stage. *Nature*, 526(7573), 351–360.