



第四十九章 基因治疗



第一节 基因治疗概论

基因治疗（**gene therapy**）是指改变细胞遗传物质为基础的医学治疗。通过一定基因转移载体将正常或有治疗价值的目的基因或核酸分子导入靶细胞，从而达到防治疾病的效果。



第一节 基因治疗概论

基因治疗类型

◆ 按基因操作方式分

基因增强和基因失活

基因修正和基因置换

◆ 按靶细胞类型分

生殖细胞基因治疗

体细胞基因治疗



第一节 基因治疗概论

基因治疗条件

- ◆ 目的基因的准备
 - ◆ 靶细胞的选择
 - ◆ 基因转移的途径
- ex vivo*
- in vivo*



第二节 基因转移方法

根据不同的靶细胞和细胞基因转移系统的特点选择

理想的基因治疗载体应具备特点

- ①易于高滴度大规模商品化生产；
- ②载体具有持续稳定性；
- ③载体具有免疫惰性；
- ④载体具有组织靶向性；
- ⑤载体对导入的遗传物质大小没有限制；
- ⑥载体带有合适的调控序列，可以有效转导、调节和表达外源遗传物质；
- ⑦载体在细胞分裂中完成分裂和分泌，或整合到靶细胞染色体特异性基因位点上；
- ⑧载体对分裂和未分裂细胞转染



第三节 基因治疗应用

- 遗传病基因治疗
- 恶性肿瘤基因治疗
- 其他疾病的基因治疗



第三节 基因治疗应用

恶性肿瘤基因治疗

- ◆ 免疫性基因治疗
- ◆ 病因性基因治疗
- ◆ 溶瘤腺病毒基因治疗
- ◆ 自杀基因治疗
- ◆ 辅助性基因治疗
- ◆ 抗血管生成基因治疗



第四节 基因治疗的问题和前景

- 有治疗价值的目的基因的开发
- 设计高效的基因转移载体
- 解决基因治疗的靶向及表达调控问题
- 基因治疗简便性
- 伦理学问题
- 充分估计导入外源基因对机体的不利影响