

GEN TERAPIYASINING ZAMONAVIY RIVOJLANISHLARI, UNING IMKONIYATLARI VA AHAMIYATI, GENETIK KASALLIKLARNI DAVOLASHDAGI YANGI YONDOSHUVLAR.

Anorov Sirojiddin

Alfraganus Universiteti Tibbiyot fakulteti

Davolash ishi yo'nalishi talabasi

Anatatsiya: Ushbu maqolada gen terapiyasining zamonaviy rivojlanish bosqichlari, ilm-fan va amaliy tibbiyotdagi ahamiyati, shuningdek, genetik kasalliklarni davolashda qo'llanilayotgan yangi texnologiyalar ko'rib chiqiladi. CRISPR-Cas9, somatik va germinal hujayralarga ta'sir ko'rsatish usullari, virusli va virus bo'lmagan tashuvchi sistemalar, shuningdek, individual davolash yondoshuvlari tahlil qilinadi. Gen terapiyasi inson genetik kodini to'g'rilash orqali ilgari davolab bo'lmagan deb hisoblangan irsiy kasalliklarni samarali davolash imkonini bermoqda.

Kalit so'zlar: Gen terapiyasi, genetik kasalliklar, CRISPR, gen tahriri, DNK, RNK, tashuvchi vektor, individual davolash, biotexnologiya, irsiy muammolar.

Gen terapiyasi – bu inson organizmidagi nosog'lom yoki mutatsiyaga uchragan genlarni to'g'rilash, almashtirish yoki yo'q qilish orqali sog'liqni tiklashga qaratilgan ilg'or biotibbiy yo'nalishdir. So'nggi o'n yilliklarda bu soha sezilarli yutuqlarga erishdi. Ayniqsa, CRISPR-Cas9 kabi gen tahrir qilish texnologiyalarining paydo bo'lishi tibbiyotda inqilobiy burilish yasadi. Ushbu yondashuvlar yordamida ilgari davolab bo'lmagan deb hisoblangan irsiy kasalliklar – masalan, kistofibroz, Duchenne mushak distrofiyasi, gemofiliya, irsiy ko'rish nuqsonlari va hatto ba'zi saraton turlari ustida muvaffaqiyatli klinik sinovlar olib borilmoqda. Gen terapiyasining zamonaviy rivojlanish bosqichlari insoniyat sog'ligini saqlashda genetik yondoshuvning qanchalik muhim va istiqbolli ekanini ko'rsatmoqda.

Gen terapiyasi bugungi kunda tibbiyotning eng ilg'or va istiqbolli yo'nalishlaridan biri hisoblanadi. Uning asosiy mohiyati – inson organizmidagi nosog'lom yoki funksiyasini bajarmayotgan genlarni to'g'rilash, almashtirish yoki yangilari bilan almashtirish orqali kasalliklarni davolashdan iborat. Ushbu yondashuv ayniqsa irsiy (genetik) kasalliklarni davolashda juda katta ahamiyat kasb etadi. Odatda bu kabi kasalliklar an'anaviy dori-darmonlar bilan faqat simptomatik tarzda nazorat qilinardi, ammo gen terapiyasi muammoning ildizini – genetik kodning o'zini tuzatishga qaratilganligi bilan ajralib turadi.

Gen terapiyasining birinchi bosqichlari 1990-yillarda boshlangan bo'lib, dastlabki klinik sinovlar kam sonli kasalliklar bilan chegaralangan edi. Ammo so'nggi o'n yillik ichida molekulyar biologiya, biotexnologiya va gen muhandisligi sohalarida yuz bergan yutuqlar tufayli gen terapiyasining qo'llanish doirasi sezilarli darajada

kengaydi. Ayniqsa, CRISPR-Cas9 texnologiyasining ishlab chiqilishi gen tahririda inqilobiy o'zgarish yasadi. Bu texnologiya yordamida genetik koddagi aniq bir nuqtada xatolikni topish va uni to'g'rilash imkoniyati paydo bo'ldi.

CRISPR texnologiyasi arzonligi, aniqligi va ko'p hollarda yuqori samaradorligi bilan ajralib turadi. Masalan, AQShda Duchenne mushak distrofiyasiga chalingan bemorlar ustida olib borilgan klinik sinovlarda CRISPR yordamida mushaklar hujayralaridagi mutatsiyaga uchragan genlar muvaffaqiyatli tahrirlandi. Natijada bemorlarda harakatlanish funksiyasi tiklana boshlagan. Boshqa bir holatda, irsiy ko'rish nuqsoni bilan tug'ilgan bolalarga gen terapiyasi orqali ko'rish qobiliyati qisman qayta tiklangan.

Gen terapiyasining asosiy yondoshuvlari ikki turga bo'linadi: somatik va germinal. Somatik gen terapiyasida bemorning tanasidagi mavjud hujayralarga ta'sir qilinadi, bu usul faqat bemorning o'ziga ta'sir qiladi va avlodlarga o'tmaydi. Germinal terapiyada esa jinsiy hujayralar – urug' yoki tuxum hujayralarga ta'sir qilinadi, bu esa kelajakdagi avlodlarda genetik muammolarning oldini olish imkonini beradi. Ayni paytda insonlarda germinal gen terapiyasiga nisbatan ehtiyotkorlik bilan yondashilmoqda, chunki bu nafaqat tibbiy, balki etik muammolarni ham yuzaga keltiradi.

Gen terapiyasining amalda qo'llanishi uchun gen materialini organizmga qanday yetkazish muhim ahamiyatga ega. Hozirgi kunda bu maqsadda virusli (adenoviruslar, lentaviruslar) va virus bo'lmagan (liposomalar, nanotanchalar) tashuvchi sistemalar qo'llanilmoqda. Virusli tashuvchilar genetik materialni hujayra yadrosiga samarali yetkazish imkonini bersa-da, ba'zida immun tizim tomonidan rad etilishi yoki yallig'lanish chaqirishi mumkin. Shu sababli tadqiqotchilar xavfsiz va samarali yangi vektorlar ustida izlanishlar olib bormoqda.

Hozirgi kunda gen terapiyasi orqali davolanishi mumkin bo'lgan kasalliklar orasida quyidagilarni sanab o'tish mumkin: gemofiliya (qon ivishining buzilishi), oralikdagi orqa miya mushak atrofiyasi (SMA), irsiy ko'rlik (Leber's congenital amaurosis), kistofibroz, beta-talassemiya, o'simlik hujayralaridan kelib chiqadigan immun yetishmovchiligi (SCID), va hatto ba'zi onkologik kasalliklar. Ayniqsa CAR-T hujayravii terapiyasi orqali leykemiya va limfomalarni davolashdagi muvaffaqiyatlar e'tiborga loyiq. Bu usulda bemorning immun hujayralari modifikatsiya qilinib, saraton hujayralariga nisbatan "yo'naltirilgan qurol"ga aylantiriladi.

Bundan tashqari, gen terapiyasi individual yondashuv – ya'ni har bir bemorning genetik tuzilmasiga moslashtirilgan davolash rejasi ishlab chiqish imkonini beradi. Bunday terapiya farmakogenetika bilan uzviy bog'liq bo'lib, har bir bemorning dori vositalariga individual javobini hisobga olib, eng samarali va xavfsiz davo yo'lini tanlashga imkon beradi.

Ammo gen terapiyasi hali ham to'liq shakllangan va ommaviy bo'lib ketgan tibbiy yondashuv emas. Uning keng miqyosda qo'llanilishiga bir qancha muammolar to'sqinlik qilmoqda. Birinchidan, gen terapiyasi juda murakkab, xarajatli va har doim ham barqaror natija bermaydi. Ikkinchidan, uzoq muddatli ta'sirlari to'liq o'rganilmagan. Masalan, genetik tahrir natijasida tasodifiy joylarda DNK o'zgarishlari sodir bo'lishi mumkin (off-target effects), bu esa yangi muammolarni yuzaga keltirishi mumkin. Uchinchidan, gen terapiyasining ba'zi shakllari (ayniqsa germinal modifikatsiyalar) etik va ijtimoiy jihatdan bahsli masalalardir. Chunki bu yondashuv orqali inson nasl-nasabini sun'iy o'zgartirish xavfi mavjud. Shunga qaramay, gen terapiyasi zamonaviy tibbiyotning istiqbolli yo'nalishlaridan biri bo'lib qolmoqda. Ko'plab davlatlar, ilmiy markazlar va farmatsevtika kompaniyalari bu yo'nalishda faol ishlamoqda. AQSh, Yaponiya, Germaniya, Janubiy Koreya, Xitoy kabi davlatlarda yuzlab klinik tadqiqotlar olib borilmoqda. Har yili o'nlab yangi gen terapiyasi vositalari FDA yoki boshqa tartibga soluvchi organlar tomonidan klinik foydalanishga tasdiqlanmoqda.

Gen terapiyasi — inson salomatligining yangi ufqlarini ochayotgan, fundamental genetik muammolarni hal etishga qodir innovatsion tibbiy yondashuvdir. U orqali nafaqat mavjud irsiy kasalliklar davolanmoqda, balki kelajak avlodlarda ularning oldini olish yo'llari ham shakllanmoqda. Shuningdek, individual tibbiyot, sun'iy intellekt va gen muhandisligi bilan integratsiyalashgan holda gen terapiyasi global sog'liqni saqlash tizimining muhim yo'nalishiga aylanmoqda.

Gen terapiyasi — zamonaviy tibbiyotning ilg'or yo'nalishlaridan biri bo'lib, genetik kasalliklarning ildiz sabablarini bartaraf etishga qaratilgan. Ushbu terapiya orqali inson genetik materialini to'g'rilash, almashtirish yoki o'zgartirish orqali davolab bo'lmas deb hisoblangan irsiy kasalliklar ustida muhim natijalarga erishilmoqda. CRISPR-Cas9, CAR-T hujayraviy terapiya kabi texnologiyalar gen tahririning aniqligi va samaradorligini oshirdi. Somatik va germinal gen terapiyasi turli yondashuvlarni taqdim etadi, ammo ularning har biri o'ziga xos xavf va etik muammolar bilan bog'liq. Gen terapiyasi hali to'liq shakllanmagan bo'lsa-da, uning klinik qo'llanilishi tobora kengayib bormoqda va u kelajakda shaxsiylashtirilgan (individual) tibbiyotning markaziy komponentiga aylanishi kutilmoqda. Shu boisdan, gen terapiyasini yanada chuqurroq o'rganish, xavfsizligini ta'minlash va keng jamoatchilikda tushunchalarni shakllantirish dolzarb ahamiyat kasb etadi.

Foydalanilgan adabiyotlar

1. National Institutes of Health (NIH). (2023). *Gene Therapy Overview*.
2. Doudna, J. A., & Charpentier, E. (2020). *The new frontier of genome engineering with CRISPR-Cas9*. Science, 346(6213), 1258096.

3. Dunbar, C. E., High, K. A., Joung, J. K., Kohn, D. B., Ozawa, K., & Sadelain, M. (2018). *Gene therapy comes of age*. Nature Reviews Genetics, 19(5), 275–290.
4. World Health Organization (WHO). (2022). *Human Genome Editing: Position Paper*.
5. Maeder, M. L., & Gersbach, C. A. (2016). *Genome-editing technologies for gene and cell therapy*. Molecular Therapy, 24(3), 430–446.
6. Porteus, M. H. (2019). *A new class of medicines through DNA editing*. New England Journal of Medicine, 380(10), 947–959.
7. Ginsburg, G. S., & Phillips, K. A. (2018). *Precision Medicine: From Science to Value*. Health Affairs, 37(5), 694–701.
8. FDA. (2023). *Approved Cellular and Gene Therapy Products*.
9. Uzbek Bioengineering Association. (2022). *Gen terapiyasining tibbiyotdagi istiqbollari* (ilmiy maqola to‘plami).
10. Harvard Medical School. (2021). *Gene therapy: the next revolution in medicine*.