



# GÜVENLİ GEN TEDAVİLERİ

**1990'ların başında, AIDS'e çare bulundu, kanserin sonu geldi gibi manşetler gördük hep. Anlatılan çözüm yollarının çoğu gen tedavisiyle ilgiliydi. Son yılların bu en popüler araştırma alanı, bir tedavi yöntemi olarak henüz çok fazla popüler olamadı. Politik nedenlerden örselendiği, klinik denemelere izin verilmediği, araştırmalar için gerekli paranın sağlanamadığı dönemler oldu. 2003'e geldiğimizde, hastalara sağlıklı genlerin nasıl aktarılacağı konusunda çeşitli yöntemlerin geliştirildiğini görüyoruz. Bu gelişmelerin arasında, virüsle taşıma yerine, virütik olmayan taşıyıcıların kullanılmaya başlanması ayrı bir yer tutuyor.**

Başlangıçta genetik bozuklukların tedavisi için planlanan gen tedavisi, artık enfeksiyon hastalıkları, kanser, AIDS, kalp hastalıkları gibi çeşitli hastalıkları önlemek ve tedavi etmek için geliştiriliyor. Bu tedavilerde genlerin, kilit pozisyonundaki bir proteini gereken yer ve zamanda üretmesi hedefleniyor. Gen tedavisi, hastalıkların gelişiminden sorumlu hatalı genlerin düzeltildiği ya da yerlerine sağlamlarının konulduğu bir teknik. Bu teknikte, hastanın belli hedef hücrelerine sağlam genetik materyal aktarılıyor. Bu transferle, hatalı bir genin yerini normal bir gen alıyor ya da hücreye yeni bir işlev veriliyor. Gen değişim tedavisi, genelde kistik fibroz ya da kas distrofisi (erimesi) gibi kalıtsal hastalıkların tedavisinde kullanılıyor. Bu hastalıklar, hatalı olan bir genin yanlış işleyişinden kaynaklanır. AIDS, kanser gibi daha karmaşık hastalıkların gen tedavisindeyse, hastanın hücrelerine yeni bir genin aktarılmasındaki amaç, aynı hücreye yeni bir işlev yüklemek.

Çoğu gen tedavisi çalışmasında ele alınan genler, vücut hücresi genleri. Çünkü, eşey hücrelerine uygulanan gen tedavisinde, genlerde yapılan değişiklik, kuşaktan kuşağa aktarıldığından, uygulama etik açıdan çok uygun bulunmuyor ve desteklenmiyor. Başarılı bir gen tedavisi için hastalığa neden olan genin belirlenmesi ilk koşul. Genin tanımlanmasından sonraki aşamada, sağlıklı genin hedeflenen hücrelere taşınması ve orada "ifade edilmesi" yani kodladığı proteinin üretiminin sağlanması gerekli. Nakledilecek genler hücre içi ve hücre dışı engellerle de başa çıkmak zorundalar. Hücre içi engeller, naklin yapılacağı hücrenin zarı, endozom ve çekirdek zarı. Genler hücre içine, endozom denen, hücre zarından oluşan bir zarla çevrelenmiş yapılar halinde alınırlar. Taşıyıcı endozomdan kurtulamazlarsa, lizozomlarca (hücrelerin enzim deposu) etkisiz hale getirilirler. Belirli dokular ve vücudun savunma sistemiye, hücre dışı engelleri oluşturur. Bu engelle-

ri aşarak başarıya ulaşmak, büyük ölçüde kullanılan taşıyıcıya bağlıdır.

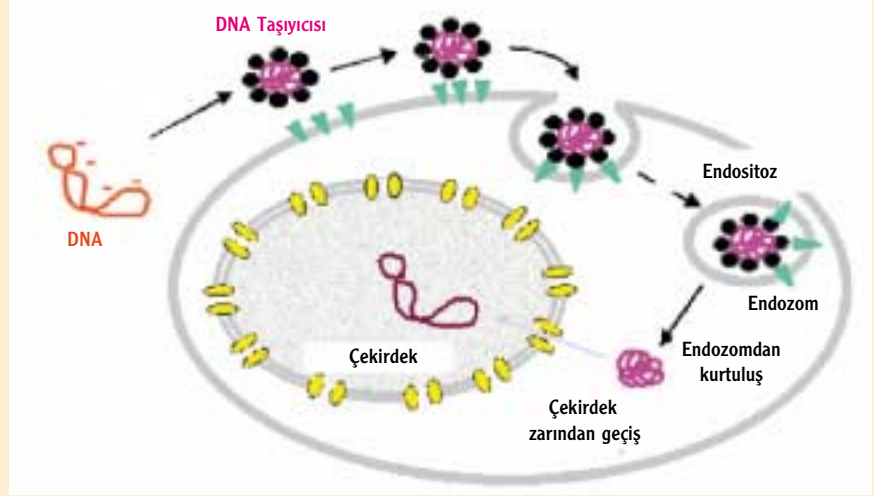
Tedavi edecek genin, hastanın hedef hücrelerine ulaşmasını sağlamak için kullanılan taşıyıcılara vektör deniyor. En yaygın olarak kullanılan vektörler, genetik yapıları değiştirilmiş virüsler. Virüsler, kendi genetik yapılarını, içine girdikleri hücrelere aktarabilme yeteneğine sahipler. Bu özelliklerinden dolayı da, gen tedavisi için iyi birer araç konumundalar. Virüsler, hastalık yapıcı genleri giderilerek, tedavi edilmek istenen hastalıkla ilgili sağlam genlerle yeniden yapılandırıldıklarında, insanların yararına çalışmaya başlarlar. Böyle bir virütik taşıyıcı hedeflenen hücreye ulaştığında, her zaman yaptığı gibi, kendi genetik materyalini hücreye aktarır. Genetik yapısı değiştirildiğinden hastalığa neden olmaz. Hücreyse, virüsten aldığı genetik şifreye göre, tedavi edici gerekli proteini üretmeye başlar.

Her şey güzel ve basit gibi gözükse de, virüslerin gen aktarım aracı olarak

kullanılmasının birtakım dezavantajları var. Her tip hücreyi enfekte edeme ve yabancı genetik materyal taşıyabilmek için sınırlı kapasite, yalnızca belli virüs tiplerinin dezavantajı. Ancak, organlar arasındaki dokusal engelleri ve hedef hücrelerin hücre ve çekirdek zarlarını değiştirme, hedeflenen hücre dışında başka hücelere girip, onların genetik yapılarını da değiştirme gibi riskler de sözkonusu. Kontrol altına alınamayarak hastanın ölümüne neden olabilen bağışıklık sistemi tepkisiyse, aralarında en kötü olanı. Tüm bu nedenlerden, virüslerin işin içine karıştırılmadığı, daha güvenilir gen aktarım yöntemleri ve taşıyıcıları geliştiriliyor.

## Virüssüz ve Güvenli

Sentetik ya da virütik olmayan taşıyıcılar olarak adlandırılan yapılar, tedavi edici genleri hücre içine taşıyıp aktarabiliyor ve istenmeyen bağışıklık sistemi tepkilerini giderecek şekilde tasarlanabiliyorlar. Ayrıca, çeşitli hücelere yönlendirilebilmeleri de sözkonusu. En basit yöntem, tedavi edici DNA'nın doğrudan hedef hücreye verilmesi. Ancak, yöntemin uygulama alanları kısıtlı; çünkü yalnızca belli dokularda kullanılabiliyor. Bu yöntem, elektroporasyon (elektrik uygulanma-



ıyla hücrelerin geçirgen hale getirilmesi), parça bombardımanı ya da gen tabancası olarak da adlandırılan balistik DNA enjeksiyonu, hidrodinamik basınç gibi birkaç tekniğin birleştirilmesiyle geliştiriliyor. Ayrıca, DNA'nın endozomdan kaçışını kolaylaştıran yeni gen taşıyıcı moleküller, çevresel değişimlere göre DNA'nın kontrollü salınımını sağlayan işlevsel polimerler ve bağışıklık sistemi tepkisini azaltmaya yarayacak farklı yöntemler de geliştiriliyor. Virütik olmayan taşıyıcıların genel bir özelliği, polilizin gibi katyonik bir polimerin kullanılması. Genel amaç, gen aktarımında virüsler kadar etkili taşıyıcılar elde etmek. İdeal bir taşıyıcıda aranan özelliklerse, uzun

ömürlü gen ifadesi sağlama, dokulara ve hücelere nüfuz edecek kadar küçük olma, endozom ve lizozomlardan kaçabilme, DNA'yı çekirdeğe ulaştırabilme ve genin protein üretimini başlatmasını sağlama olarak sayılabilir.

Birkaç yıl öncesine kadar, virütik olmayan taşıyıcılar, virüsler kadar etkili olamıyor, aktarılan genler uzun süre etkin kalamıyordu. Oysa son yıllarda yapılan çalışmalar, virüsleri kullanmadan da genlerin etkili bir şekilde taşınabileceğini gösteriyor. İlk denemelerden birinde RNA, pozitif elektrik yüklü lipidlerle (yağlarla) kaplanarak, lipopleks denen yapılar halinde farelere enjekte edilmiş, daha sonra dokularda RNA'ca kodlanan bir enzimin varlığı kontrol edilmişti. Lipid kaplı RNA, geni etkinleştirmede başarısız olurken, kaplanmamış ya da çıplak RNA, enzimi harekete geçirmeyi başarmıştı. Birkaç ay sonra yapılan bir çalışmada plazmidlerle (küçük DNA parçaları) kas hücrelerine taşınan genler haftalarca etkin olarak kalmıştı. Araştırmacıların, uzun süreli gen ifadesi sağlamanın tek yolunun virüs kullanmak olduğunu düşündükleri bu dönemde, çıplak plazmid DNA kas hücrelerinin içine yapıştı ve genler açık olarak kaldı. Çıplak DNA enjeksiyonu, hâlâ en basit ve en başarılı virüs dışı gen aktarım yolu.

Çıplak DNA tedavileri, kanser ve kalp hastalıkları gibi diğer hastalıklarda da deneniyor. Örneğin, koroner atardamar hastaları için bir gen tedavisi geliştirildi bile. Tedavide, kan damarlarının gelişmesine yardımcı olan VEGF geni, doğrudan hastanın kalp kaslarına enjekte ediliyor. Bu, daralmış ya da tıkanmış damarların bir ka-

## İlk Deneme

Watson ve Crick'in 1950'lerde DNA'nın ikili sarmal yapısını açıklamalarından beri, gen tedavisi olasılığı ve bunun etik yönü tartışılıyor. İlk baştaki amaç, kistik fibroz ve hemofili gibi kalıtsal genetik hastalıklara sonsuza kadar bir çözüm bulabilmektir. Bilimadamları bu amaçla, ilgili geni yalıtmayı, bu genin iyi kopyalarını elde etmeyi ve bunları hastanın hücrelerine taşımayı planladılar. Tedavi edilmiş hücrelerle, hastanın yeni kuşaklara sağlıklı hücreler aktarması umut ediliyordu.

1990'larda sistem laboratuvarında işler durma gelmişti. Kistik fibroz hastalarından alınan hücelere, sağlıklı genler aktararak hasta hücrelerin normale döndüğü süreç izleniyordu. Aynı yıl, dört yaşındaki bir kız çocuğuna uyguladığı ilk gen tedavisiyle Dr. French Anderson, genetik tarihindeki yerini aldı. Tedavinin uygulandığı hasta da bir tür bağışıklık sistemi bozukluğu olan adenoazin deaminaz (ADA) enziminin eksikliği vardı. Çok seyrek rastlanan bu genetik hastalıkta, savunma sisteminin çalışabilmesi için gerekli olan ADA enzimi üretilmiyor. Bu yüzden, ADA eksikliğiyle doğan çocuklar sık sık ağır enfeksiyonlar geçiriyorlar. Ufak virüs enfeksiyonları bile yaşam-

sal tehlike yaratabiliyor ve tedavi edilmediğinde birkaç yıl içinde ölüme sonuçlanabiliyor.

İlk gen tedavisi uygulamasında ADA eksikliğinin seçilmesinin belli nedenleri vardı. İlk neden bu hastalığın tek bir gendeki bozuluktan kaynaklanması. Bu bir tek genin, pek çok genin tersine sürekli ifade gibi basit bir sistemle kontrol edilmesi de başka bir önemli etken. Ayrıca, üretilen enzim miktarının sıkı bir şekilde denetimi de gereksiz; çünkü küçük miktarlar bile yararlı olurken, fazlası herhangi bir olumsuz durum yaratmıyor.

Yapılan bu ilk gen tedavisinde, hastanın kanından alınan hatalı beyaz kan hücreleri laboratuvar ortamında çoğaltıldıktan sonra normal ADA geni bir virütik taşıyıcı yardımıyla bu hücelere aktarıldı. Genetik yapıları başarıyla değiştirilen hücreler seçildi ve bunlar çoğaltılarak tekrar hastaya verildi. Bu işlemler ilk başlarda 6-8 haftalık aralıklarla, daha sonraları 6-12 ayda bir tekrarlandı. Sonuçta, tedavi edilen hücreler gerekli enzimin üretilmesini sağladılar, ama yeni hücrelerin sağlıklı olması konusunda başarılı olunamadı. Bu yüzden, yöntemin güvenilirliği kanıtlanmış olsa da, etkinliği hâlâ tartışılmakta. Ayrıca, hastanın enzimin kendisini de, PEG-ADA adlı ilaçla düzenli olarak alması, gen tedavisinin tek başına ne kadar yeterli olduğu sorusuna net bir yanıt verilmesini engelledi.



Bir koroner atardamar hastasını tedavi etmek üzere çıplak DNA enjeksiyonu uygulanıyor.

teter (damar içinde ilerletilen, ucunda keski bulunan sonda) yardımıyla açıldığı anjiyoplastiye benzeyen bir işlemle gerçekleştiriliyor. İlk denemelerde umut verici sonuçlar elde edilmiş. Var olan atardamarlardan, kalp kaslarının gereksinimini karşılayacak şekilde, yeni atardamarlar filizlenmiş. Bu teknik, kalp hastalarının ağrısını azaltmakla birlikte, hastanın kondisyonunu da artırıyor. Yöntemin ileride bypass ameliyatlarına bir seçenek durumuna gelebileceği belirtiliyor. Benzer yöntemlerinse, ciddi dolaşım bozukluklarından dolayı bacak gibi uzuvlarını kaybetme tehlikesinde olan hastalara yardımcı olabileceği düşünülüyor.

Çıplak DNA enjeksiyonları, ne yazık ki, karaciğer ve kas dışındaki dokulara genleri taşımada çok iyi işleviyor. Bu yüzden, genleri diğer dokulara sokmak için, DNA'yı lipid ve polimerlerden oluşan farklı kombinasyonlarla kaplama yoluna gidiliyor. Klinik denemelerde HLA-B7 genini taşıyan lipid kaplı plazmid, doğrudan tümörlere enjekte edilmiş. Bu gen, tümöre karşı bağışıklık gelişimini sağlayan bir protein kodluyor. Bu bağışıklık tepkisi, diğer tedavilere cevap vermeyen bazı ağır melanom hastalarında, tümörlerin küçülmesini sağlamış. Tümörlerin ameliyatla alınmadığı durumlar için de, farklı bir gen tedavisi stratejisi deneniyor. Sentetik lipidle kaplı interleukin-2 geninin kullanıldığı bu yöntem, klasik kemoterapiyle birleştirildiğinde, dört aydan daha uzun bir süre boyunca kanserin yayılmasını engellemiş. Bu süre, yalnızca kemoterapi

alan hastalardaki yayılma süresinden %38 daha uzun.

## Yeni Taşıyıcılar

Gen tedavisinde virütik olmayan taşıyıcıların kullanıldığı klinik denemelerin sayısı gittikçe artıyor; ancak, pek çok hastalık bu yöntemle tedavi edilemiyor. Bunun nedeni çoğu yöntemde etkin genin düşük seviyelerde ve kısa periyodlarla aktarılması. Bu yüzden araştırmacıların yapmaya çalıştığı şey, hedef dokularda daha yüksek oranda hücreye girebilmek ve genlerin hücre içinde daha uzun ömürlü olmalarını sağlamak.

Kısa ömürlü gen ifadesi, kanser tedavisi ve anjiyogenez (tümörlerin kendilerini beslemek için yeni kan damarları yaratması) için yeterli olabiliyor. Aslında bu durum bazı tedavilerde bir avantaj; çünkü, örneğin yeni damarlar geliştirmek için yalnızca kısa süreli bir gen ifadesine gereksinim duyuluyor. Ancak, pek çok hastalığı tedavi etmek için, tedavi edici genlerin, daha fazla proteini, daha uzun süre sağlaması gerekiyor. Virüsler bu işi virütik olmayan taşıyıcılardan hâlâ daha iyi başarıyorlar; ancak, virütik olmayan yeni yöntemlerle yapılan laboratuvar denemeleri, boşluğu kapamak üzere.

Örneğin, elektroporasyon adı verilen bir yöntemle, gen transferi çıplak DNA enjeksiyonlarından 80 kat daha etkili bir şekilde yapılıyor. DNA'nın cilt, kas ya da tümör gibi hedef dokuya enjekte edildiği yöntemde, hücrelere özel tasarlanmış bir elektrot yardımıyla bir elektrik akımı uygulanıyor.

Bu akım, hücre zarında geçici delikler oluşturarak, DNA'nın hücre içine girişini sağlıyor. Yöntem, hemofili hastalığı olan köpeklere kan pıhtılaştırıcı genlerin aktarılmasında kullanılmış ve geçici olarak hastalığın belirtilerini giderdiği görülmüş. Kanserle savaşan interleukin-12 geninin farelerdeki deri tümörlerine aktarıldığı başka bir çalışmada, bu yöntemin kullanılmasıyla bazı tümörler giderilmiş.

Virütik olmayan bir başka gen terapisi stratejisinde de gen aktarımı etkinliği artırılıyor. Genleri vücut içinde hücrelere taşımak yerine, hücreler vücuttan alınıyor, bunlara gerekli genler ekleniyor ve değiştirilmiş hücreler laboratuvar ortamında geliştirilerek, hastanın karın boşluğuna enjekte ediliyor. Araştırmacılar, 6 hemofili hastasından alınan deri hücrelerine, faktör VIII olarak bilinen kan pıhtılaştırma proteinini kodlayan geni aktarmada bu yöntemi kullanmışlar. Hücreler hastalara geri verildiğinde pıhtılaşma proteini üretimi başlamış. Altı hastadan dördünde, daha önce enjeksiyon yoluyla aldıkları pıhtılaşma proteinine daha az gereksinim duyulmuş. Ayrıca, enjeksiyondan sonra 10 ay kadar bir süreyle daha az kanama görülmüş.

Virütik olmayan çoğu taşıyıcıda, uzun süreli gen ifadesinin sağlanamaması, kısmen, bu taşıyıcıların gerekli geni konak hücrenin genomuna eklememesinden kaynaklanıyor. Ancak araştırmacılar bu güce sahip, virütik olmayan bir taşıyıcı tasarladılar. 2000 Mayıs ayında sonuçları açıklanan araştırmada, bir farenin damarına iki plazmid aynı anda enjekte edilmiş. Plazmidin biri transpozon parçalarına (genetik materyal içinde bulunan hareketli DNA parçaları) bağlı tedavi edici geni taşıyor. İkinci plazmidde, ilk plazmiddeki hibrit (karma, melez) genin kromozoma geçmesine yardımcı olan bir enzim kodluyor. Her iki plazmid aynı zamanda enjekte edildiğinde, hemofili farelerin karaciğer hücrelerine kan pıhtılaştırıcı bir anahtar gen eklenmiş ve burada kanın normal olarak pıhtılaşmasına yetecek kadar proteinin pompalanması sağlanmış.

Uzun süreli gen ifadesi sağlamak için denenen başka bir yolsa, kendilerini genoma eklemeyen doğrusal DNA parçaları aktarmak. Bu parçalar, fare-



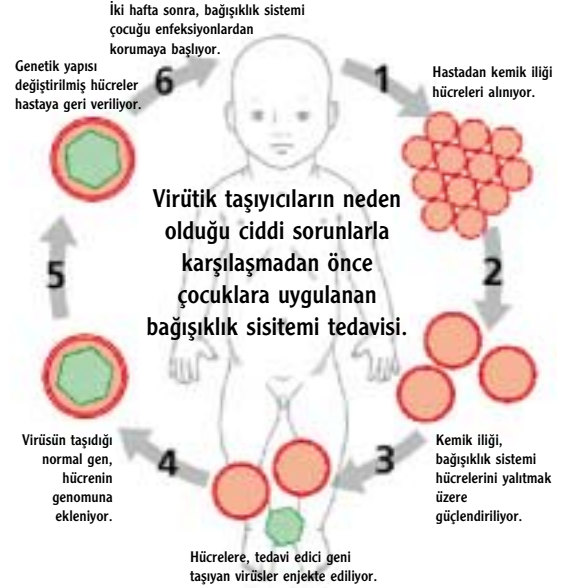
lerin karaciğer hücrelerinde bir yıl süreyle kalmışlar. Bu, farelerin yarı ömrü demek. Bu uzun ömürlü plazmidleri karaciğere aktarmak için hidrodinamik yöntemi kullanılmış. Bu yöntemde farenin kuyruk damarına yüksek miktarda tuzlu suyla birlikte çıplak DNA hızla enjekte ediliyor. Bu miktar kabaca hayvanın vücudundaki tüm kanın miktarına eşit. Oluşan basınç, DNA'nın karaciğerdeki kan damarlarından dışarı çıkmasına neden oluyor ve karaciğer hücrelerinin çoğunluğu yabancı genleri ifade etmeye başlıyor.

DNA içeren yaklaşık 5 litre tuzlu suyun insanlara enjekte edilmesi önerilecek bir şey değil; ancak, hidrostatik basıncın yine de insan dokularına genleri ulaştırmada yardımcı olabileceği düşünülüyor. Bu düşünceyle yapılan bir çalışmada, bir resus maymununun kol ve bacak kaslarını besleyen atardamarlara DNA enjekte edilmiş ve kan basıncı geçici olarak yükseltilmiş. Yöntemle, kas hücrelerinin yaklaşık %30'una gen ulaştırılabilir. Bu sonuç, yöntemin etkinlik bakımından virütik taşıyıcılara rakip olabileceğini gösteriyor. Yöntem 2002'de hayvan modelleri üzerinde Duchenne kas distrofisinin tedavisi amacıyla başarıyla uygulanarak, hatalı kas geni değiştirildi. Bu teknolojiye kontrollü yüksek basınç sayesinde taşıyıcılar, kandan kaslara etkin bir şekilde naklediliyor.

Bir başka gen tedavisi hilesiyse, ameliyatla kan damarlarını sıkıştırmak. Bu yöntem, kas erimesi olan farelerin diyafram kaslarını tamir etmek için kullanılmış. Bu uygulama büyük önem taşıyor; çünkü pek çok kas erimesi (MD) hastası, diyafram kasları akciğerlere hava çekmede yetersiz kalınca boğularak ölebiliyor. Araştırmacılar uygulamada ameliyatla kan damarını birkaç saniyelik sıkıştırmışlar. Bu sürede artan kan basıncı tedavi edici geni salmak için yeterli bir süre. Benzer sıkıştırma yöntemlerinin, tedavi edici genleri başka organlara göndermede de kullanılabilirliği düşünülüyor.

Araştırmacılar, yeni gen aktarım yöntemleri geliştirmenin yanı sıra, farklı genler içeren küçük havuzlar yaratıyorlar ve her bir havuzu farelere enjekte ederek hastalığı tedavi etmeye yarayacak geni hangisinin içerdiğini hızla görüyorlar. Giderek küçülen havuzlar-

1999 yılında, 18 yaşındaki Jesse Gelsinger'in, Pennsylvania Üniversitesi'nde gördüğü gen tedavisinin ardından ölmesi, gen tedavilerine karşı daha dikkatli yaklaşmak gerektiğini kanıtladı. Seyrek görülen bir karaciğer düzensizliği olan Gelsinger'a, sağlıklı gen kopyalarını taşıyan virüsler enjekte edilmişti. Gelsinger'ın ölüm nedeni, vücudunun virüslere karşı bağışıklık tepkisi geliştirmesine başlanıyor. 2003 Ocak ayında Fransa'da yapılan bir denemede, bağışıklık sistemi bozukluğu olan iki çocuğun, yine virütik taşıyıcılarla tedavi edilmeye çalışılması, çocuklarda lösemi oluşmasına neden oldu. Bu olaylardan sonra, gen tedavisinde virütik olmayan taşıyıcıların geliştirilip kullanılması konusuna daha fazla yoğunlaşıldı.



la, hangi genin işe yaradığı belirlenebilecek. Bu, her bir aday geni bir virütik taşıyıcıya klonlamaktan çok daha kısa süren bir işlem ve hangi genin etkili çıkacağından kimsenin emin olmadığı kanser gibi hastalıklar için büyük önem taşıyor. Bu şekilde yeni tedavi edici genlerin keşfi ve etkili ulaştırma yöntemleriyle, gen tedavisi alanında sıçrama yaşanacağı düşünülüyor.

## Doğrudan Hedefe

Bazı araştırmacılar, virüsler gibi hareket edebilecek, ama virütik olmayan karmaşık taşıyıcılar tasarlamaya çalışıyorlar. Tasarlanan taşıyıcıların çoğu birkaç farklı stratejik karara dayanıyor: Gen, kan dolaşımına mı salınacak, yoksa doğrudan dokuya mı verilecek? Belirli dokular için polimer, lipid ve diğer moleküllerin hangi kombinasyonları kullanılacak? Bu kompleksleri doğru hücrelere yöneltmek için başka bir molekül eklenecek mi? Bu durum karmaşık gibi görünmesine karşın, sistem çalışmaya başladı. Örneğin, üç kısımdan oluşan bir taşıyıcı sistemi, farelerin kalp dokusuna, çıplak DNA'dan 20-100 kez daha etkili bir şekilde gen ulaştırabiliyor. Bu taşıyıcı, DNA, DNA'yı enzimlerden koruyacak pozitif yüklü bir polimer ve kalp kası hücrelerinin tanıyıp alacağı bir lipidten oluşuyor.

Genleri kan dolaşımı yoluyla hedef dokuya göndermek için geliştirilen başka bir yöntemdeyse, genler iki kısımdan oluşan polimer kabuklarla ko-

runuyor ve gereksinim duyulan yerde salınıyorlar. Polilizin polimeri, DNA'yı küçük parçalar halinde sarmalıyor. İkinci bir polimerse onu kayganlaştırıyor ve bağışıklık proteinlerinden ve hücrelerinden kurtarıyor. Taşıyıcı, hedef hücrenin içine girdiğindeyse, hücre içindeki kimyasal ortam polilizin parçalanmasına neden oluyor ve DNA serbest kalıyor. Bu sisteme belirli anti-kor, peptid ya da şeker gibi yönlendirici moleküllerin de eklenmesiyle, DNA'lar yalnızca belli dokularca tanıyıp alınabilecekler ve böylece hedeflenmiş ulaşım mümkün olabilecek.

Bu türden, virütik olmayan karmaşık taşıyıcıların yaşamımıza girmesi için henüz çok erken olabilir; ama bu çalışmalar, geleceğin gen tedavilerinin nasıl olacağı hakkında bize ipucu vermeye yetiyor. Belli dokuları kendine hedef alarak ve hatalı geni değiştirerek ya da tamir ederek genetik bozuklukları düzeltecek ve insanları virütik taşıyıcıların potansiyel tehlikeleriyle karşı karşıya bırakmayacak taşıyıcılar kapımıza yaklaştı. Ayrıca, ihtiyaç duyduğumuz süre boyunca yeterli miktarda proteini üretmeye yarayacak genlerin, hergangi bir ilaç gibi enjekte edilebileceği bir gelecek de bizleri bekliyor.

Meltem Yenal Coşkun

**Kaynaklar**  
D. Ferber, "Gene Therapy: Safer and Virus-Free?", Science, 23 Kasım 2001  
[http://www.ornl.gov/TechResources/Human\\_Genome/medicine/genetherapy.html](http://www.ornl.gov/TechResources/Human_Genome/medicine/genetherapy.html)  
[http://cis.nci.nih.gov/fact/7\\_18.htm](http://cis.nci.nih.gov/fact/7_18.htm)  
<http://www.pbs.org/saf/1202/features/genetherapy.htm>  
<http://web.bham.ac.uk/can4psd4/gt/index.html>  
<http://www.nature.com/cgi-taf/DynaPage.taf?file=/gt/Journal/v9/n24/abs/3301923a.html&dynoptions=doi1064333229>  
[http://net.unl.edu/newsFeat/med\\_eth/me\\_gene.html](http://net.unl.edu/newsFeat/med_eth/me_gene.html)