

## Czym są terapie genowe



Terapie genowe to nowy rodzaj leczenia, który zostanie bliżej przeanalizowany podczas badań klinicznych dotyczących mukowiscydozy. Ważne jest, aby dobrze zrozumieć, z czym wiąże się udział w badaniu, zanim się na nie zdecydujesz. Poniżej staraliśmy się odpowiedzieć na niektóre często zadawane pytania dotyczące terapii genowych.

### **Czym są terapie genowe?**

Terapie genowe to kuracje lekami, które mają na celu tworzenie działających kopii białka. Są one opracowywane z myślą o chorobach, w których występują warianty genu, tak jak w przypadku mukowiscydozy.

### **Jak można je wykorzystać w leczeniu mukowiscydozy?**

Osoby chore na mukowiscydozę mają warianty genu CFTR, które wpływają na zdolność ich organizmu do wytwarzania białka CFTR.

Terapie genowe w mukowiscydozie mogą pomóc organizmowi w tworzeniu działających kopii białka CFTR z genu CFTR. W zależności od rodzaju terapii genowej dokonuje się tego na różne sposoby.



### Kto może odnieść korzyści?

Terapie genowe mogą potencjalnie przynieść korzyści wszystkim chorym na mukowiscydozę. Dotyczy to również osób, u których nie sprawdzają się modulatory CFTR, np. osób z rzadkimi wariantami CFTR.

Jednak żadne nowe badanie nie daje gwarancji, a zanim terapie te staną się standardowymi metodami leczenia mukowiscydozy, minie dużo czasu.

### Czy terapie te będą działać tylko na płuca?

Podczas tych wstępnych badań klinicznych leczenie będzie prowadzone w formie terapii inhalacyjnej, której celem jest poprawa stanu płuc osób chorych na mukowiscydozę. Nie wiemy jeszcze, czy i kiedy pojawią się terapie genowe ukierunkowane na inne obszary ciała.

### Kto będzie mógł wziąć udział w tego typu badaniach?

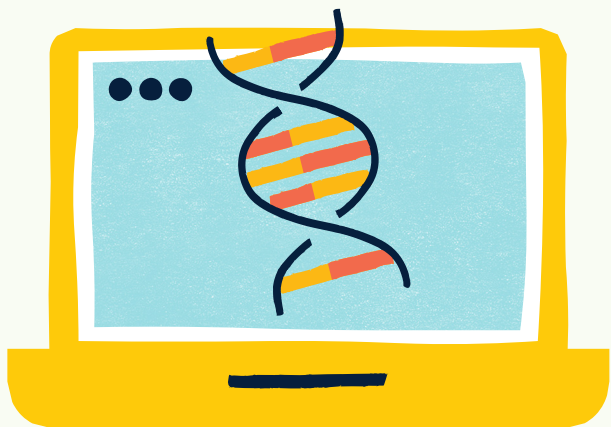
Mamy nadzieję, że w ciągu najbliższych kilku lat w badaniach klinicznych terapii genowych będą mogły wziąć udział osoby z rzadkimi wariantami CFTR. Każde badanie będzie miało inne wymagania dotyczące udziału. Jeśli badania te zakończą się sukcesem, pozwoli to w przyszłości przeprowadzić większe badania dostępne dla wszystkich chorych na mukowiscydozę.

### Jak dołączyć do badania terapii genowej

Będziemy publikować wszystkie badania kliniczne terapii genowych prowadzone w Wielkiej Brytanii w naszej wyszukiwarce (Trials Tracker) na stronie [cysticfibrosis.org.uk/trialstracker](https://www.cysticfibrosis.org.uk/trialstracker)

Jeśli interesuje Cię udział w badaniu, porozmawiaj ze swoim zespołem klinicznym, skontaktuj się z koordynatorem badania podanym w wyszukiwarce lub napisz do nas na adres

[clinicaltrials@cysticfibrosis.org.uk](mailto:clinicaltrials@cysticfibrosis.org.uk)



### Dowiedz się więcej o terapiach genowych.

Stworzyliśmy internetowe kompendium informacji, aby lepiej wyjaśnić, czym są terapie genowe i na czym mogą polegać badania. Zawiera ono:

- często zadawane pytania,
- filmy,
- glosariusz.

Więcej informacji można znaleźć na stronie [cysticfibrosis.org.uk/genetictherapies](https://www.cysticfibrosis.org.uk/genetictherapies)



Zeskanuj powyższy kod QR, aby dowiedzieć się więcej.