Cystic Fibrosis Trust

Deall therapïau genetig

Mae therapïau genetig yn fath newydd o driniaeth i'w hymchwilio mewn treialon clinigol ffeibrosis systig (CF). Mae'n bwysig cael dealltwriaeth dda o'r hyn sy'n gysylltiedig cyn ystyried cymryd rhan mewn treial. Rydym wedi ceisio ateb rhai cwestiynau cyffredin am therapïau genetig isod.

Beth yw therapïau genetig?

Mae therapïau genetig yn feddyginiaethau sydd wedi'u cynllunio i wneud copïau gweithredol o brotein. Maent yn cael eu datblygu ar gyfer cyflyrau lle mae amrywiadau (variants) mewn genyn, fel mewn CF.

Sut y gellid eu defnyddio ar gyfer CF?

Mae gan bobl â CF amrywiadau yn y genyn rheolydd dargludedd trawsbilen ffibrosis systig (CFTR) sy'n effeithio ar allu'r corff i gynhyrchu'r protein CFTR.

Gallai therapïau genetig CF helpu'r corff i wneud copïau gweithredol o'r protein CFTR o'r genyn CFTR. Mae gwahanol fathau o therapïau genetig yn gwneud hyn mewn gwahanol ffyrdd.

Uno am fywyd *heb gyfyngiadau*

Pwy allai elwa?

Mae therapïau genetig yn cynnig y potensial i fod o fudd i bawb sydd â CF. Mae hyn yn cynnwys y rhai na allant elwa o fodiwlyddion CFTR, fel pobl ag amrywiadau CFTR prin. Fodd bynnag, nid oes unrhyw warantau gydag unrhyw dreial newydd, ac mae'n debygol y bydd yn amser hir cyn y byddem yn gweld y rhain ar gael fel triniaethau safonol ar gyfer CF.

A fydd y therapïau hyn yn gweithio ar yr ysgyfaint yn unig?

Bydd y treialon clinigol cychwynnol hyn yn darparu'r driniaeth fel therapi anadlu, gyda'r nod o wneud ysgyfaint pobl â CF yn llawer iachach. Nid ydym yn gwybod eto a fyddwn yn gweld therapïau genetig sy'n targedu rhannau eraill o'r corff, na phryd.

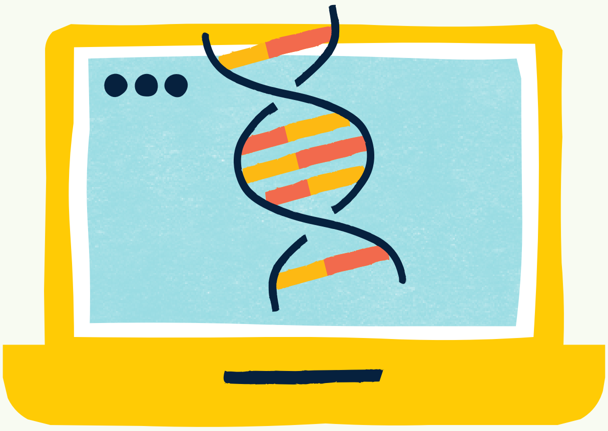
Pwy fydd yn gallu cymryd rhan yn y mathau hyn o dreialon?

Gobeithiwn y bydd cyfle i bobl ag amrywiadau CFTR prin gymryd rhan mewn treialon clinigol therapi genetig yn ystod y blynyddoedd nesaf. Bydd gan bob treial unigol ofynion gwahanol ar gyfer cymryd rhan. Os bydd y treialon hyn yn llwyddiannus, efallai y bydd treialon mwy i bawb â CF yn digwydd yn y dyfodol.

Sut i ymuno â threial therapi genetig

Byddwn yn rhestru pob treial clinigol o therapïau genetig sydd ar agor yn y DU ar ein Teclyn Olrhain Treialon yn **cysticfibrosis.org.uk/trialstracker**

Os oes gennych ddiddordeb mewn cymryd rhan mewn treial, siaradwch â'ch tîm clinigol, cysylltwch â chydlynydd y treial a restrir ar y teclyn olrhain, neu anfonwch e-bost atom ynt **clinicaltrials@cysticfibrosis.org.uk**



Dysgwch fwy am therapïau genetig

Rydym wedi creu adnodd gwybodaeth ar-lein i helpu i esbonio mwy am beth yw therapïau genetig a be i ddisgwyl gan dreialon, sy'n cynnwys:

- Cwestiynau Cyffredin
- Fideos
- Geirfa

Sganiwch y cod QR uchod am ragor o wybodaeth

Am ragor o wybodaeth, ewch i **cysticfibrosis.org.uk/genetictherapies**

© Cystic Fibrosis Trust 2026. Registered as a charity in England and Wales (1079049) and in Scotland (SC040196). A company limited by guarantee, registered in England and Wales number 3880213. Registered office: 33 Creechurch Lane, London EC3A 5EB

Uno am fywyd *heb gyfyngiadau*