

GEN VA HUJAYRA TERAPIYASINING ZAMONAVIY TIBBIYOTDAGI ISTIQBOLLARI

Doniyorova Zulayho

Alfraganus Universiteti Stomatologiya va farmatsiya fakulteti
Farmasevtika yo'nalishi 4- kurs talabasi

M.K.Usmonova

Ilmiy rahbar: Farmasevtika va kimyo kafedrası
v. b dotsenti (PhD)

<https://doi.org/10.5281/zenodo.22763827>

Annotatsiya

Gen va hujayra terapiyasi zamonaviy tibbiyotning jadal rivojlanayotgan innovatsion yo'nalishlaridan biridir. Ushbu texnologiyalar irsiy, onkologik, immunologik va ayrim degenerativ kasalliklarni davolashda yangi imkoniyatlarni yaratmoqda. Gen terapiyasining asosiy maqsadi kasallik rivojlanishiga sabab bo'luvchi genetik nuqsonni tuzatish, zararlangan gen faoliyatini o'zgartirish yoki hujayraga terapevtik gen kiritishdan iborat. Hujayra terapiyasida esa bemorning o'zidan yoki donordan olingan hujayralardan davolash maqsadida foydalaniladi. Hozirgi kunda genetik modifikatsiyalangan hujayralar, CAR-T terapiyasi, ildiz hujayralari va gen tahrirlash texnologiyalari klinik tibbiyotning muhim yo'nalishlariga aylanmoqda. FDA ma'lumotlariga ko'ra, gen va hujayra terapiyasining bir qator mahsulotlari allaqachon tasdiqlangan va yangi preparatlar klinik rivojlanishda davom etmoqda.

Kalit so'zlar: gen terapiyasi, hujayra terapiyasi, gen tahrirlash, CRISPR/Cas9, ildiz hujayralari, CAR-T, regenerativ tibbiyot, biotexnologiya.

Tibbiyot fanining rivojlanishi kasalliklarni faqat simptomatik davolashdan ularning molekulyar va genetik sabablarini bartaraf etishga yo'naltirilgan yangi davolash usullarining paydo bo'lishiga olib keldi. Shunday innovatsion yo'nalishlardan biri gen va hujayra terapiyasidir.

Gen terapiyasi inson hujayralaridagi genlarning faoliyatini o'zgartirish orqali kasallikni davolashga qaratiladi. Bunda nuqsonli genning sog'lom nusxasini kiritish, kasallikka sabab bo'layotgan gen faoliyatini to'xtatish yoki genning ma'lum qismini o'zgartirish mumkin.

Hujayra terapiyasi esa tirik hujayralardan terapevtik maqsadda foydalanishga asoslanadi. Bunday hujayralar bemorning o'zidan olinishi yoki donor hujayralaridan foydalanilishi mumkin. Hozirgi vaqtda hujayra terapiyasining ayrim shakllari saraton, qon kasalliklari va boshqa og'ir patologiyalarni davolashda qo'llanmoqda.

Gen terapiyasining asosiy mexanizmlari

Gen terapiyasida bir nechta asosiy yondashuvlardan foydalaniladi.

1. Nuqsonli genni almashtirish

Ayrim irsiy kasalliklarda ma'lum genning faoliyati buzilgan bo'ladi. Bunday holatda hujayraga genning funksional nusxasini yetkazish orqali kerakli oqsil ishlab chiqarilishini tiklash maqsad qilinadi.

2. Zararli gen faoliyatini bostirish

Ba'zi kasalliklarda muayyan genning ortiqcha yoki noto'g'ri faolligi patologik jarayonni yuzaga keltiradi. Bunday holatda gen faoliyatini kamaytirish yoki to'xtatish terapevtik maqsadga xizmat qilishi mumkin.

3. Gen tahrirlash

Gen tahrirlash texnologiyalari, jumladan CRISPR/Cas tizimlari, DNKning ma'lum qismlariga nisbatan aniq o'zgarishlar kiritish imkonini beradi. FDA insonlarda CRISPR/Cas9 yordamida gen tahrirlashni gen terapiyasi doirasida ko'rib chiqadi.

Hujayra terapiyasining zamonaviy yo'nalishlari

Hujayra terapiyasining muhim yo'nalishlaridan biri ildiz hujayralaridan foydalanish hisoblanadi. Ildiz hujayralari o'z-o'zini yangilash va turli hujayra turlariga differensiallashish qobiliyatiga ega. Shu sababli ular zararlangan to'qimalarni tiklash va regenerativ tibbiyotda katta qiziqish uyg'otmoqda.

Yana bir muhim yo'nalish — immun hujayralar terapiyasi. Jumladan, CAR-T texnologiyasida bemorning T-limfotsitlari laboratoriya sharoitida genetik jihatdan o'zgartiriladi va saraton hujayralarini aniqlash hamda ularga qarshi kurashish qobiliyati kuchaytiriladi.

Bugungi kunda FDA tasdiqlagan hujayra va gen terapiyasi mahsulotlari orasida CAR-T preparatlari, gen terapiyalari va boshqa hujayravii mahsulotlar mavjud.

Onkologiyada qo'llanilishi

Gen va hujayra terapiyasining eng istiqbolli sohalaridan biri onkologiyadir. Saraton hujayralarining genetik xususiyatlarini o'rganish ularni nishonga oluvchi individual davolash usullarini ishlab chiqishga imkon bermoqda.

CAR-T terapiyasi ayrim qon saratonlarida muhim terapevtik yondashuvga aylandi. Bunda bemorning immun tizimi hujayralarini genetik o'zgartirish orqali ularning o'sma hujayralarini tanib olish qobiliyati kuchaytiriladi.

Kelajakda genetik jihatdan dasturlashtirilgan tirik hujayralardan saraton bilan bir qatorda boshqa kasalliklarni davolashda ham foydalanish imkoniyatlari o'rganilmoqda.

Irsiy kasalliklarni davolashdagi istiqbollar



Gen terapiyasi ayniqsa irsiy kasalliklar uchun muhim istiqbolga ega. Chunki an'anaviy davolash usullari ko'pincha kasallik sababini emas, balki uning belgilarini nazorat qiladi.

Gen terapiyasi esa kasallikning molekulyar sababiga ta'sir qilish imkonini beradi. Hozirgi vaqtda ayrim irsiy qon kasalliklari, immun yetishmovchiliklar, ko'rish tizimining ayrim genetik kasalliklari va boshqa kam uchraydigan patologiyalar bo'yicha gen terapiyasi mahsulotlari ishlab chiqilgan yoki klinik amaliyotga kiritilgan.

Gen terapiyasining afzalliklari

Gen va hujayra terapiyasining asosiy afzalliklari quyidagilardan iborat:

kasallikning genetik sababiga bevosita ta'sir qilish imkoniyati;

ayrim kasalliklarda uzoq muddatli terapevtik ta'sirga erishish imkoniyati;

individual davolash usullarini rivojlantirish;

ilgari samarali davolash imkoniyati cheklangan kasalliklar uchun yangi variantlar yaratish;

regenerativ tibbiyot imkoniyatlarini kengaytirish;

immun tizimini terapevtik maqsadda genetik jihatdan dasturlash.

Mavjud muammolar

Shu bilan birga, gen va hujayra terapiyasining keng qo'llanilishida bir qator muammolar mavjud.

Birinchi, bunday preparatlarni ishlab chiqarish murakkab va katta xarajatlarni talab qiladi. Hujayralarni ajratish, ko'paytirish, genetik modifikatsiya qilish, sifatini nazorat qilish va bemorga qaytarish jarayonlari qat'iy standartlarni talab etadi.

Ikkinchi, gen terapiyasida immun javob va genetik materialni kerakli hujayralarga yetkazish muammolari mavjud. Virusli vektorlar gen yetkazishda keng qo'llanadi, biroq ularning immunogenligi va xavfsizlik xususiyatlari alohida baholanishi kerak.

Uchinchi, gen tahrirlashda maqsaddan tashqari o'zgarishlar yuzaga kelish ehtimoli mavjud.

Shu sababli zamonaviy tadqiqotlarda gen tahrirlashning aniqligi va xavfsizligini oshirishga katta e'tibor berilmoqda. FDA 2026-yilda genom tahrirlash xavfsizligini keyingi avlod sekvenslash usullari bilan baholash bo'yicha yangi yo'riqnoma loyihasini ham e'lon qilgan.

Kelajak istiqbollari

Kelajakda gen va hujayra terapiyasi yanada individual, aniq va xavfsiz bo'lishi kutilmoqda. Ayniqsa, CRISPR/Cas, sun'iy intellekt, genomik tahlil,



biomateriallar va regenerativ tibbiyotning birlashishi yangi terapevtik imkoniyatlarni yaratishi mumkin.

Yana bir istiqbolli yoʻnalish — in vivo gen terapiyasi, yaʼni hujayralarni laboratoriyada ajratib olmasdan, genetik oʻzgarishni bevosita organizm ichida amalga oshirishdir. Bunday yondashuv ayrim kasalliklarni davolash imkoniyatlarini sezilarli kengaytirishi mumkin.

Zamonaviy tadqiqotlarda genetik jihatdan dasturlashtirilgan tirik hujayralarni organizmga xavfsiz yetkazish, ularning faoliyatini nazorat qilish va immun tizimi bilan oʻzaro taʼsirini boshqarish ham muhim yoʻnalish hisoblanadi.

Muhokama

Gen va hujayra terapiyasi anʼanaviy farmakologik davolashdan farqli ravishda kasallikning biologik va genetik mexanizmlariga yoʻnaltirilgan. Bu yondashuv tibbiyotda “kasallikni nazorat qilish”dan “kasallik sababini tuzatish”ga oʻtish imkoniyatini yaratmoqda.

Shunga qaramay, mazkur texnologiyalarni klinik amaliyotga joriy etishda xavfsizlik, narx, ishlab chiqarish standartlari, uzoq muddatli kuzatuv va bioetik masalalar muhim oʻrin tutadi. FDA ham gen va hujayra terapiyasi mahsulotlarini ishlab chiqishda sifat, xavfsizlik va samaradorlikni kompleks baholash zarurligini taʼkidlaydi.

Xulosa

Gen va hujayra terapiyasi zamonaviy tibbiyotning eng istiqbolli innovatsion yoʻnalishlaridan biridir. Ushbu texnologiyalar irsiy kasalliklar, saraton, immun tizimi buzilishlari va boshqa ogʻir patologiyalarni davolashda yangi imkoniyatlarni yaratmoqda.

Gen terapiyasi nuqsonli genni almashtirish, gen faoliyatini oʻzgartirish yoki gen tahrirlash orqali kasallikning molekulyar sababiga taʼsir qilish imkonini beradi. Hujayra terapiyasi esa ildiz hujayralari, immun hujayralari va genetik modifikatsiyalangan hujayralardan foydalanish orqali regenerativ hamda individual davolash imkoniyatlarini kengaytirmoqda.

Kelajakda gen tahrirlash texnologiyalarining aniqligi, hujayra terapiyasining xavfsizligi va davolashning iqtisodiy jihatdan qulayligi oshishi ushbu usullarning tibbiyotda yanada keng qoʻllanilishiga zamin yaratadi.

Foydalanilgan adabiyotlar

1. U.S. Food and Drug Administration. What is Gene Therapy? FDA, 2020.
2. U.S. Food and Drug Administration. Cellular & Gene Therapy Products. FDA, 2026.
3. U.S. Food and Drug Administration. Approved Cellular and Gene Therapy Products. FDA, 2026.



4. U.S. Food and Drug Administration. Cellular & Gene Therapy Guidances. FDA, 2026.
5. Harimoto, T., Jung, W.-H., & Mooney, D. J. Delivering living medicines with biomaterials. *Nature Reviews Materials*, 2025, 10, 191–210.
6. U.S. Food and Drug Administration. Immunogenicity of Gene Therapy Products. FDA.
7. U.S. Food and Drug Administration. Development of strategies to improve cell therapy product characterization. FDA.
8. U.S. Food and Drug Administration. Resources Related to Regenerative Medicine Therapies. FDA.
- May, M. From one to many gene therapies. *Nature Medicine*, 2025, 31, 2458–2459.
9. U.S. Food and Drug Administration. How Gene Therapy Can Cure or Treat Diseases. FDA, 2026. Resources Related to Regenerative Medicine Therapies. FDA.
- May, M. From one to many gene therapies. *Nature Medicine*, 2025, 31, 2458–2459.
10. U.S. Food and Drug Administration. How Gene Therapy Can Cure or Treat Diseases. FDA, 2026.

