

## الملخص العربي

- العلاج الجيني يعتبر نوعاً جديداً من العلاج لكلاً من الأمراض الوراثية والمكتسبة والذي يتطور سريعاً ومن خلال هذه الخطة يتم إدخال الحمض النووي على هيئة DNA إلى الخلايا الجسدية لاستبدال أو تعديل النقص الوراثي وتعديل الصفات الوراثية للخلايا في جسم الإنسان أو يستخدم كعوامل علاجية مباشرة.
- مثل هذا التطور يسمح باحتمالية علاج وشفاء الأمراض الوراثية مثل السرطان، وأمراض الأوعية الدموية وأمراض الضمور العصبي والعضلي و الشلل الرعاش.
- لقد تم اكتشاف العلاج الجيني لأول مرة سنة 1990 واستخدم لعلاج طفلة عمرها 4 سنوات حيث كانت تعاني من مرض متلازمة نقص المناعة الشديدة. وهذا المرض ناتج عن خطأ جيني نتج عنه نقص إنزيم الأدينوسين دي أميناز.
- والهدف من العلاج الجيني هو علاج أو شفاء الأمراض الوراثية والمكتسبة وذلك بإحياء الخلايا المعدلة عن طريق الهندسة الوراثية.

الأمراض التي تعالج بالجينات لابد أن تتصف بالصفات الآتية:

- أمراض غير قابلة للشفاء. أمراض تهدد الحياة لابد من فصل الجين الصحيح من الجين الناقص وتحديد الخلايا والأنسجة والأعضاء المتأثرة بالمرض.
- يوجد نوعان من العلاج بالجينات هما: العلاج الجيني للخلايا الجسدية،  
والعلاج الجيني للخلايا الجنسية.
  - فالعلاج الجيني للخلايا الجسدية يهدف إلى غرس الجين الصحيح في الأنسجة خاصة جسم الإنسان بهدف علاج الأمراض الوراثية وهذا النوع من العلاج لا يمر إلى الأجيال المستقبلية. بينما العلاج الجيني للخلايا الجنسية يتم عن طريق إدخال الجينات للحيوان المنوي أو البويضة وذلك لمنع الجينات المعيبة من أن تنتقل إلى الأجيال التالية.  
هناك طريقتان أساسيتان من هذا النوع من العلاج:
    - الطريقة الأولى: العلاج الجيني المباشر داخل جسم الإنسان.
    - والطريقة الثانية: تعديل الخلية المستهدفة خارج جسم الإنسان ثم يتم إعادة إدخاله مرة ثانية.
  - العلاج الجيني له مميزات وعيوب والتي تسمح أو تمنع استخدامه.
  - إن عملية إدخال الجين تعتبر الخطوة الثانية الكبرى في العلاج الجيني والتي يتم تأديتها بواسطة مجموعتين كبيرتين إما عن طريق ناقل فيروسي أو آخر

غير فيروسي حيث يوجد أنواع مختلفة من الفيروسات أهمها اثنين يختلفان في طريقة عملهما ونتائجهما والميزات والعيوب.

• إن العلاج بالجينات الوراثية يستخدم لعلاج من الأمراض العصبية المختلفة ويقلل من نشاط وتقدم المرض.

• إن موضع هذه الرسالة يركز على العلاج الجيني وذلك بغرض إصلاح إنزيمات الضمور العصبي الوراثي وأمراض أخرى مثل: مرض الرعاش ومرض التيبيس المتعدد ومرض متلازمة جيلان باري ومرض هانتنجون ومرض الزهايمر وأورام المخ والالتهاب المتعدد والصداع النصفي وأمراض سوء التخزين الليزوزمي وأمراض أخرى.

#### الهدف من المقالة:

1- إعطاء فكرة فصيرة عن الاستراتيجيات والأنواع المختلفة للعلاج بالجينات.

2- توضيح العلاج الجيني في بعض الأمراض العصبية