UNIVERSAL JOURNAL OF MEDICAL AND NATURAL SCIENCES
ISSN 2992-8826
https://sr-journals.org/index.php/UJMANS

Генетическая инженерия и биотехнология в современной медицине

Тошпулатова Д.З.
dilyastar0008@gmail.com
Студент Ташкентского Государственного Медицинского Университета
г. Ташкент, Республика Узбекистан
Научный руководитель: ***Курбанов А.К.,*** *к.м.н., доцент №1 кафедры гистологии и медицинской биологии ТГМУ*

Аннотация. Генетическая инженерия и биотехнология являются одними из ключевых направлений современной медицины, обеспечивая возможности точной диагностики, профилактики и лечения различных заболеваний. Развитие технологий CRISPR-Cas9, секвенирования генома, РНК-интерференции, клеточной терапии и синтетической биологии значительно расширило возможности биомедицинских исследований и клинической практики. Современные биотехнологические методы применяются в генной терапии инфекционных, онкологических и наследственных заболеваний, разработке вакцин и производстве биофармацевтических препаратов. Несмотря на значительные достижения, сохраняются проблемы, связанные с безопасностью генетических вмешательств, эффективностью доставки генетического материала и этическими аспектами применения данных технологий.

Ключевые слова: генетическая инженерия, биотехнология, генная терапия, CRISPR-Cas9, некодирующие РНК (ncRNA), микроРНК (miRNA), персонализированная медицина.

Annotatsiya. Genetik muhandislik va biotexnologiya zamonaviy tibbiyotning asosiy yo‘nalishlaridan biri bo‘lib, turli kasalliklarni aniq tashxislash, oldini olish va davolash imkoniyatlarini yaratadi. CRISPR-Cas9 texnologiyasi, genomni sekvensiyalash, RNK-interferensiyasi, hujayra terapiyasi va sintetik biologiyaning rivojlanishi biotibbiy tadqiqotlar hamda klinik amaliyot imkoniyatlarini sezilarli darajada kengaytirdi. Zamonaviy biotexnologik usullar infeksion, onkologik va irsiy kasalliklarni gen terapiyasi orqali davolashda, vaksinalar yaratishda hamda biofarmatsevtik preparatlar ishlab chiqarishda qo‘llanilmoqda. Katta yutuqlarga qaramay, genetik aralashuvlarning xavfsizligi, genetik materialni yetkazib berish samaradorligi va ushbu texnologiyalardan foydalanishning axloqiy jihatlari bilan bog‘liq muammolar hanuz saqlanib qolmoqda.

Kalit so‘zlar: genetik muhandislik, biotexnologiya, gen terapiyasi, CRISPR-Cas9, kodlamaydigan RNKlar (ncRNA), mikroRNK (miRNA), shaxsiylashtirilgan tibbiyot

Abstract. Genetic engineering and biotechnology are among the key fields of modern medicine, providing opportunities for accurate diagnosis, prevention, and treatment of various diseases. The development of technologies such as CRISPR-Cas9, genome sequencing, RNA interference, cell therapy, and synthetic biology has significantly expanded the possibilities of biomedical research and clinical practice. Modern biotechnological methods are used in gene therapy for infectious, oncological, and hereditary diseases, vaccine development, and the production of biopharmaceutical products. Despite significant achievements, important challenges remain, including the safety of genetic interventions, the efficiency of genetic material delivery, and ethical issues related to the application of these technologies.

Keywords: genetic engineering, biotechnology, gene therapy, CRISPR-Cas9, non-coding RNAs (ncRNA), microRNAs (miRNA), personalized medicine.

Введение. Генетическая инженерия и биотехнология являются одними из наиболее быстро развивающихся направлений современной медицинской биологии. Развитие молекулярной генетики и биоинженерии значительно расширило возможности диагностики, профилактики и лечения различных заболеваний. Современные технологии позволяют проводить точные изменения генетического материала, создавать новые лекарственные препараты и разрабатывать персонализированные методы терапии.

Основы современной генной инженерии были заложены после появления технологий рекомбинантной ДНК, которые сделали возможными клонирование генов и получение рекомбинантных белков. Важную роль в развитии биотехнологии сыграли микроорганизмы, используемые для производства антибиотиков, вакцин, ферментов и других биологически активных веществ. Кроме того, развитие методов ПЦР и секвенирования генома значительно ускорило диагностику наследственных, инфекционных и онкологических заболеваний [2].

Особое значение в современной медицине приобрели технологии редактирования генома, особенно система CRISPR-Cas9 [1], позволяющая осуществлять точные изменения ДНК. Генетическая инженерия активно применяется в генной и клеточной терапии, включая лечение наследственных заболеваний и некоторых форм рака с использованием CAR-T-технологий [5].

Несмотря на значительные достижения, остаются проблемы, связанные с безопасностью генетических вмешательств, доставкой генетического материала и этическими аспектами применения данных технологий. Тем не менее генетическая инженерия и биотехнология продолжают формировать основу современной прецизионной медицины и открывают новые перспективы для развития здравоохранения.

Материалы и методы. В данной работе был проведен обзор современных научных публикаций, посвященных развитию генетической инженерии и биотехнологии, а также их применению в медицинской биологии и клинической практике. Анализировались исследования в области молекулярной биологии, генетики, микробиологии и биомедицины.

Основное внимание уделялось технологиям редактирования генома, включая CRISPR-Cas9, TALENs и цинковые пальцевые нуклеазы (ZFN) [1, 9], а также методам генной и клеточной терапии [3, 10]. Рассматривались современные методы молекулярной диагностики, включая ПЦР, секвенирование генома и FISH-анализ.

Дополнительно изучались исследования в области микробной биотехнологии, систем доставки генетического материала [7] и производства биологически активных веществ. Методологической основой работы являлись анализ, сравнение и систематизация современных научных данных.

Современная генетическая инженерия представляет собой совокупность методов и технологий, направленных на целенаправленное изменение генетического материала живых организмов. Развитие молекулярной биологии и биоинженерии позволило создать высокоточные инструменты редактирования генома, которые активно применяются в научных исследованиях, медицине, фармакологии и биотехнологии. Основной задачей данных технологий является изменение структуры ДНК для коррекции патологических мутаций, регуляции экспрессии генов или создания новых биологических свойств клеток.

Одной из первых технологий направленного редактирования генома стали цинковые пальцевые нуклеазы (ZFN). Данные белки способны распознавать определенные последовательности ДНК и вызывать двухцепочечные разрывы в заданных участках генома. После разрыва активируются клеточные механизмы репарации ДНК, что позволяет удалять, заменять или вставлять необходимые генетические последовательности. Несмотря на высокую точность, технология ZFN имела ряд недостатков, включая сложность конструирования белков и высокую стоимость применения.

Следующим этапом развития технологий редактирования генома стали TALENs (Transcription Activator-Like Effector Nucleases). Данная система основана на использовании белков бактерий рода *Xanthomonas*, способных связываться с определенными участками

ДНК. TALENs обладают более высокой специфичностью по сравнению с ZFN и позволяют редактировать практически любые гены [9]. Эти технологии нашли применение в экспериментальной медицине и исследованиях наследственных заболеваний.

Наиболее значительным достижением современной генетической инженерии стала система CRISPR-Cas9 [1, 2]. Изначально CRISPR-система была обнаружена у бактерий как механизм защиты от вирусов. Позднее ученые адаптировали ее для редактирования генома эукариотических клеток. Система CRISPR-Cas9 функционирует как молекулярные «ножницы»: фермент Cas9 разрезает ДНК в строго определенном участке, а guide-RNA направляет его к нужной последовательности генома. После этого клетка запускает процессы восстановления ДНК, что позволяет изменять генетическую информацию.

Главными преимуществами CRISPR-Cas9 являются высокая точность, относительная простота использования, универсальность и меньшая стоимость по сравнению с предыдущими методами редактирования генома. Благодаря этим особенностям технология быстро получила широкое распространение в биомедицинских исследованиях и клинической практике.

В последние годы были разработаны усовершенствованные варианты CRISPR-технологий. Одним из них является base editing — метод, позволяющий изменять отдельные нуклеотиды без создания двухцепочечных разрывов ДНК [4]. Другим перспективным направлением является prime editing [4], обеспечивающий более точное редактирование генома с минимальным риском побочных мутаций. Данные технологии рассматриваются как более безопасные методы генетической коррекции.

Важное значение в современной генетической инженерии имеют методы РНК-интерференции (RNA interference, RNAi) [8]. Эти технологии основаны на подавлении экспрессии определенных генов с помощью малых интерферирующих РНК. РНК-интерференция активно применяется для изучения функций генов и разработки новых методов лечения вирусных, онкологических и наследственных заболеваний.

Неотъемлемой частью генетической инженерии являются технологии рекомбинантной ДНК. Они позволяют переносить гены между различными организмами с использованием плазмид, вирусных векторов и других систем доставки. Данные методы широко применяются для производства рекомбинантных белков, гормонов, ферментов и вакцин.

Особую роль играют современные методы секвенирования генома. Высокопроизводительное секвенирование позволяет быстро анализировать большие объемы генетической информации, выявлять мутации и изучать механизмы развития заболеваний. Эти технологии являются основой персонализированной медицины и молекулярной диагностики.

Таким образом, современные технологии генетической инженерии значительно расширили возможности биомедицинской науки и создали основу для разработки новых методов диагностики, профилактики и лечения заболеваний. Постоянное совершенствование методов редактирования генома способствует развитию прецизионной медицины и открывает перспективы лечения заболеваний, ранее считавшихся неизлечимыми.

Применение генетической инженерии в медицине. Генетическая инженерия играет важнейшую роль в развитии современной медицины и является основой многих инновационных методов диагностики, профилактики и лечения заболеваний. Возможность целенаправленного изменения генетического материала позволила значительно расширить подходы к терапии наследственных, инфекционных, онкологических и иммунологических заболеваний. Современные методы генной инженерии активно применяются в клинической практике и продолжают совершенствоваться.

Одним из наиболее значимых направлений является генная терапия. Данный метод основан на введении, замене или коррекции генетического материала в клетках пациента для устранения причин заболевания на молекулярном уровне. Генная терапия применяется

преимущественно при наследственных заболеваниях, связанных с мутациями отдельных генов [3, 10]. С помощью современных технологий стало возможным лечение тяжелого комбинированного иммунодефицита, β-талассемии, серповидноклеточной анемии и некоторых форм наследственной слепоты. Использование системы CRISPR-Cas9 позволяет корректировать патологические мутации и восстанавливать нормальное функционирование клеток.

Большое значение генетическая инженерия имеет в онкологии. Одним из наиболее перспективных методов лечения злокачественных опухолей является CAR-T-терапия [5]. Данная технология основана на генетической модификации Т-лимфоцитов пациента. В клетки вводятся специальные рецепторы, способные распознавать опухолевые антигены, после чего модифицированные клетки возвращаются в организм и начинают уничтожать опухолевые клетки. CAR-T-терапия показала высокую эффективность при лечении некоторых видов лейкозов и лимфом.

Кроме того, методы генной инженерии используются для создания персонализированных противоопухолевых вакцин. После анализа генетических особенностей опухоли определяются специфические мутации, на основе которых разрабатываются индивидуальные препараты, стимулирующие иммунную систему пациента. Также активно исследуются онколитические вирусы — генетически модифицированные вирусы, способные избирательно уничтожать опухолевые клетки.

Важное место генетическая инженерия занимает в борьбе с инфекционными заболеваниями. Одним из наиболее ярких примеров стали мРНК-вакцины, разработанные для профилактики COVID-19 [6]. Эти вакцины создавались на основе генетической информации вируса и позволили быстро разработать эффективные методы иммунной защиты. Кроме того, технологии CRISPR-Cas исследуются как потенциальный метод борьбы с вирусными инфекциями, включая ВИЧ, за счет удаления вирусной ДНК из клеток организма [4].

Генетическая инженерия широко применяется и в производстве биофармацевтических препаратов. С помощью рекомбинантных технологий получают инсулин, гормон роста, интерфероны, моноклональные антитела и другие лекарственные средства. Производство рекомбинантных белков с использованием генетически модифицированных микроорганизмов значительно повысило безопасность и эффективность многих препаратов.

Большое значение имеют методы молекулярной диагностики, основанные на достижениях генной инженерии. Полимеразная цепная реакция (ПЦР), секвенирование генома и анализ экспрессии генов позволяют выявлять наследственные, инфекционные и онкологические заболевания на ранних стадиях. Современные технологии диагностики являются основой персонализированной медицины и помогают подбирать наиболее эффективное лечение для каждого пациента.

Несмотря на значительные достижения, применение генетической инженерии в медицине сопровождается рядом проблем. К ним относятся вероятность off-target-эффектов, иммунные реакции, высокая стоимость лечения и недостаточная изученность долгосрочных последствий генетических вмешательств. Кроме того, важное значение имеют этические вопросы, связанные с редактированием генома человека.

Таким образом, генетическая инженерия существенно изменила современную медицину и открыла новые возможности для лечения заболеваний, ранее считавшихся неизлечимыми. Дальнейшее развитие данных технологий способствует формированию прецизионной и персонализированной медицины будущего.

Результаты и обсуждение. Проведенный анализ показал, что генетическая инженерия и биотехнология значительно изменили подходы к диагностике, профилактике и лечению различных заболеваний. Развитие технологий редактирования генома, особенно

системы CRISPR-Cas9 [1, 4], существенно расширило возможности современной медицины благодаря высокой точности, доступности и эффективности данных методов.

Результаты исследований подтверждают перспективность генной и клеточной терапии при лечении наследственных, инфекционных и онкологических заболеваний. Значительный прогресс достигнут в применении CAR-T-терапии [5], персонализированных противоопухолевых вакцин и методов коррекции патологических мутаций.

Заключение. Генетическая инженерия и биотехнология являются одними из наиболее перспективных направлений современной медицинской биологии. Развитие технологий редактирования генома, молекулярной диагностики, генной и клеточной терапии значительно расширило возможности медицины и способствовало развитию персонализированного лечения [1, 3, 8]. Современные достижения в области CRISPR-Cas9, микробной биотехнологии и рекомбинантных технологий открыли новые перспективы в лечении наследственных, инфекционных и онкологических заболеваний. Большое значение имеют производство рекомбинантных белков, вакцин, антибиотиков и применение современных методов молекулярной диагностики, включая ПЦР и секвенирование генома. Несмотря на значительный прогресс, сохраняются проблемы безопасности, антибиотикорезистентности и этические вопросы применения генетических технологий.

Список использованной литературы.

1. Doudna, J. A., & Charpentier, E. (2014). *Genome editing: The new frontier of genome engineering with CRISPR-Cas9*. Science, 346(6213).
2. Jinek, M. et al. (2012). *A programmable dual-RNA–guided DNA endonuclease in adaptive bacterial immunity*. Science, 337(6096), 816–821.
3. High, K. A., & Roncarolo, M. G. (2019). *Gene therapy*. New England Journal of Medicine, 381(5), 455–464.
4. Chen, M. et al. (2019). *CRISPR-Cas9 for cancer therapy: Opportunities and challenges*. Cancer Letters, 447, 48–55.
5. June, C. H. et al. (2018). *CAR T cell immunotherapy for human cancer*. Science, 359(6382), 1361–1365.
6. Pardi, N. et al. (2018). *mRNA vaccines — a new era in vaccinology*. Nature Reviews Drug Discovery, 17(4), 261–279.
7. Lino, C. A. et al. (2018). *Delivering CRISPR: a review of the challenges and approaches*. Drug Delivery, 25(1), 1234–1257.
8. Niemann, H. H., Liu, Y., & Timmis, K. N. (2021). *Genetic engineering: Past achievements and future prospects*. Current Opinion in Biotechnology, 70, 1–8.
9. Wani, A. K. et al. (2023). *Genome centric engineering using ZFNs, TALENs and CRISPR-Cas9 systems for trait improvement and disease control in Animals*. Veterinary Research Communications, 47(1), 1–16.
10. SAYED, N. et al. (2020). *Gene therapy: Comprehensive overview and therapeutic applications*. Life Sciences, 294, 120375.