



Biotekhnologia medyczna stawia sobie za cel zastosowanie osiągnięć biotechnologii do prewencji i leczenia chorób. W ostatnich kilkunastu latach „sztandarowym” działem biotechnologii medycznej stała się terapia genowa. Historycznie i zgodnie z wąsko rozumianą definicją jest to leczenie chorób poprzez wprowadzanie do organizmów pacjentów prawidłowej postaci zmutowanych genów. Rozwój technik inżynierii genetycznej, a także poznawanie molekularnych mechanizmów chorób, pozwoliły jednak na wykorzystanie nowych sposobów regulacji aktywności genów. Terapia genowa to zatem nie tylko dostarczanie do komórek sekwencji kodujących prawidłowe białka, rekompensujących defekt genetyczny lub modyfikujących zaburzenia w ekspresji genów. Obecnie terapia genowa obejmuje także stosowanie takich niekodujących odcinków kwasów nukleinowych, jak oligonukleotydy antysensowe czy siRNA.

Niezależnie od wielu niespełnionych nadziei wiązanych często na wyrost z tą wciąż eksperymentalną strategią, badania nad terapią genową przyczyniły się do opracowania wielu narzędzi umożliwiających dostarczanie genów do różnych tkanek. Skuteczność wprowadzania do komórek kwasów nukleinowych, a zatem i efektywność terapii genowych w próbach klinicznych zależy od opracowania wydajnych i bezpiecznych wektorów. Dzięki stosowaniu zarówno nowych wektorów plazmidowych jak i zmodyfikowanych wektorów wirusowych osiągnięto ostatnio znaczący postęp w badaniach podstawowych, a niektóre z nowych nośników mają szansę być z powodzeniem wykorzystane w próbach klinicznych. W obecnym zeszycie „Biotekhnologii” przedstawiamy kilka takich strategii, które mogą być także stosowane jako dogodne narzędzia badawcze w wielu rodzajach eksperymentów.

Zeszyt ten został w zasadniczej części przygotowany przez zespół Zakładu Biotekhnologii Medycznej Wydziału Biochemii, Biofizyki i Biotekhnologii Uniwersytetu Jagiellońskiego (trzy prace przeglądowe oraz sześć prac eksperymentalnych). W pierwszej pracy przeglądowej (Józkowicz i Dulak) autorzy omawiają niektóre z obecnie stosowanych strategii dostarczania genów. Nie jest to oczywiście prezentacja przedstawiająca wszystkie dostępne obecnie możliwości, bowiem autorzy koncentrują się

przede wszystkim na opisanie tych metod, które sami stosują w praktyce. W dwóch następnych pracach przeglądowych (Stopa i wsp., oraz Rutkowski i wsp.), autorzy przedstawiają zalety i ograniczenia wektorów adenowirusowych oraz wektorów AAV (opartych na wirusach towarzyszących adenowirusom).

W dwóch pierwszych pracach eksperymentalnych autorzy opisują przykłady zastosowania nośników plazmidowych. W artykule dotyczącym bicistronowych wektorów plazmidowych (Kucharzewska i wsp.) autorzy przedstawiają sposób konstrukcji i zastosowania *in vitro* wektorów zawierających geny VEGF i FGF-4, czynników stymulujących powstawanie naczyń krwionośnych. W kolejnej pracy (Gołda i wsp.) autorzy prezentują sposoby modulacji ekspresji wprowadzanych genów, nie tylko za pomocą powszechnie znanego systemu regulowanego przez doksycylinę, ale także indukowanego przez hipoksję. Strategia ta może znaleźć zastosowanie, np. w terapii zawału mięśnia sercowego

W kolejnych pracach eksperymentalnych opisane są dwie strategie wprowadzania genów za pomocą wektorów wirusowych. Autorzy prezentują w nich etapy produkcji wektorów adenowirusowych (Stopa i wsp.) oraz AAV (Jaźwa i wsp.), zoptymalizowane sposoby mianowania wektorów AAV (Rutkowski i wsp.), a na przykładzie wektorów adenowirusowych opisują możliwości zastosowania tych nośników do transdukcji różnych typów komórek (Stopa i wsp.).

Ten zeszyt „Biotechnologii” może być przydatny dla badaczy zamierzających rozpocząć w swoich doświadczeniach stosowanie opisanych technik wprowadzania i regulacji ekspresji transgenów. Może być również wykorzystywany przez studentów, stanowiąc uzupełnienie kursów z zakresu terapii genowej czy inżynierii genetycznej.

Alicja Józkowicz
Józef Dulak

Droży Czytelnicy!

Chciałbym zwrócić uwagę Państwa na istotne zmiany w składzie Zespołu Redakcyjnego. Bardzo serdecznie dziękuję Panom Profesorom Aleksandrowi Chmielowi i Włodzimierzowi Grajkowi za wieloletnią wspaniałą współpracę. Bardzo liczę na dalsze wspólne działania z Kolegami.

Jednocześnie gorąco witam nowych Członków Redakcji, Panie i Panów Profesorów: Małgorzatę Korbin, Annę Skorupską, Zofię Szwejkowską-Kulińską, Stanisława Ledakowicza i Marka Figlerowicza jako sekretarza Redakcji. Jestem głęboko przekonany, że praca Zespołu będzie jeszcze bardziej efektywna z jak największą korzyścią dla biotechnologii i kwartalnika.

