

**Referat wygłoszony w dniu 15 września 2025 r. na posiedzeniu
Komisji Ochrony Zdrowia Społecznego
Oddziału PAN w Krakowie**

prof. dr hab. Wiesław Barabasz
Uniwersytet Rolniczy w Krakowie
Wydział Rolniczo-Ekonomiczny
Instytut: Katedra Mikrobiologii i Monitoringu
e-mail: rbaraba@cyf-kr.edu.pl
ORCID: <https://orcid.org/0009-0003-1493-2183>



**Terapie przyszłościowe w medycynie oparte o badania
genetyczne**

Rozwój genetyki i biotechnologii otwiera nowe możliwości w medycynie, rolnictwie i naukach przyrodniczych, ale rodzi również poważne pytania etyczne. Od edycji genów po klonowanie i testy genetyczne, dziedzina genetyki jest terenem intensywnych debat etycznych. Terapie genetyczne to najbardziej kontrowersyjne tematy i dylematy związane z genetyką. Współczesna medycyna stale się rozwija, a postęp w dziedzinie biologii molekularnej i genetyki otwiera drzwi do nowych, często rewolucyjnych rozwiązań. Obecnie można śmiało stwierdzić, że nie ma już medycyny bez genetyki. Genetyka XXI wieku pozwala już dziś dokładnie ocenić: ryzyko zachorowania na raka, choroby metaboliczne takie jak cukrzyca, choroby serca, czy choroby autoimmunologiczne np. stwardnienie rozsiane. Umożliwia szybkie wykrycie, jaki dokładnie patogen zaatakował nasz układ immunologiczny, układ pokarmowy, układ moczowy czy układ oddechowy. W krótkim czasie możemy dowiedzieć się co wywołuje utajone stany zapalne w naszym organizmie, bez ciągłego „biegania od lekarza do lekarza”. Dzięki rozwojowi genetyki możemy dopasować odpowiednie terapie czy leki, dzięki temu ratujemy życie milionom ludzi. Szeroko pojęta genetyka ma od dawna zastosowanie właściwie w każdej dziedzinie medycyny. Pomaga też planować

przyszłość osób jeszcze zdrowych. Nowoczesne badania genetyczne pomogą określić, których składników odżywczych powinniśmy spożywać więcej, czy potrzebujemy więcej tłuszczów, białka czy węglowodanów. Dzięki nowoczesnym analizom genetycznym, możesz dowiedzieć się więcej o sobie, np. dlaczego kofeina działa na nas inaczej lub dlaczego bardziej lubimy słodkocze. Określić chociażby swoje zdrowie psychiczne, predyspozycje do stresu, zbadać odpowiednio i ustabilizować poziom chociażby neuroprzekaźników lub dobrać odpowiednie kosmetyki czy zabiegi dla naszej skóry. Rozwój nowych technik genetycznych umożliwił naukowcom odczytywanie genomu organizmu, pełnego zestawu DNA. Genetycy mają w zasadzie potencjalnie nieograniczony dostęp do informacji, które dyktują strukturę i funkcje wszystkich żywych istot. Ostatnie osiągnięcia w genetyce sprawiają wrażenie szybko rosnącej zdolności przewidywania naszych indywidualnych cech na podstawie informacji genomowych, a nawet manipulowania tymi cechami za pomocą technologii, takich jak edycja genomu oparta na CRISPR. Postępy w technikach genetyki medycznej otwierają także nowe i niesamowite możliwości w zakresie spersonalizowanej medycyny, która wiąże się z wydajną i niezawodną diagnozą oraz bardzo dokładnymi prognozami opartymi na determinantach genetycznych. Do technik i metod genetycznych związanych z terapiami przyszłościowymi wykorzystywanymi w medycynie można zaliczyć:

- Biotechnologię medyczną,
- Terapię genową,
- Zastosowanie miRNA,
- Inżynierie genetyczną,
- Wykorzystanie technologii opartej o CRISPR,
- Komórki macierzyste – medycyna regeneracyjna,
- Inżynieria tkankowa,
- Produkcja szczepionek i biofarmaceutyków,
- Wykorzystanie roślin jako biofabryk,
- Wykorzystanie zwierząt transgenicznych jako przyszłych dawców narządów.

Biotechnologia, obejmująca techniki manipulacji materiałem genetycznym i biolo-gicznym, Dzięki niej możliwe staje się modyfikowanie genów w celu eliminacji chorób dziedzicznych, poprawy odporności na infekcje czy zwiększenia średniej długości życia. Jednym z najważniejszych narzędzi w biotechnologii jest CRISPR-Cas9, czyli technologia umożliwiająca precyzyjną ingerencję w strukturę genomu. Dzięki CRISPR-Cas9 naukowcy mogą usuwać, wprowadzać lub modyfikować konkretne fragmenty DNA, co otwiera drzwi do

leczenia wielu chorób genetycznych. Wiele przykładów nowoczesnej biotechnologii zależą od umiejętności: analizowania, manipulowania, wycinania i wklejania fragmentów DNA.

Terapia zaawansowana odnosi się do innowacyjnych technologii stosowanych w leczeniu różnych chorób. W kontekście terapii zaawansowanej mówi się o produktach leczniczych: terapii genowej, terapii komórkowej oraz inżynierii tkankowej, których zastosowanie ma na celu skuteczne i indywidualne podejście do pacjenta. Wprowadzenie terapii zaawansowanej otwiera nowe perspektywy w leczeniu chorób, zwłaszcza tych, które dotychczas były trudne do skutecznego kontrolowania. Tego rodzaju terapie podlegają ścisłym regulacjom i badaniom klinicznym przed wprowadzeniem do powszechnego stosowania. Terapie genetyczne w medycynie to innowacyjne metody leczenia, które polegają na modyfikacji materiału genetycznego (DNA/RNA) w komórkach pacjenta w celu naprawienia błędu genetycznego, wprowadzenia nowego genu lub wyłączenia wadliwego, adresując bezpośrednią przyczynę chorób genetycznych, nowotworów (jak białaczki – terapia CAR-T) czy schorzeń rzadkich, jak rdzeniowy zanik mięśni (SMA).

Inżynieria genetyczna to sekwencjonowanie, analiza oraz wycinanie fragmentów DNA i umieszczanie ich w innych częściach genomu. Powszechnie stosowane metody inżynierii genetycznej to: sekwencjonowanie DNA, klonowanie kopiowanie DNA, reakcja łańcuchowa polimerazy i elektroforeza żelowa. Inżynieria genetyczna to celowa ingerencja w DNA (rekombinacja). Zmiana materiału genetycznego zwykle polega na podmianie fragmentu DNA na inny, celem uzyskania określonych cech, które do tej pory nie występowały u danego organizmu. W roli nośników obcego DNA wykorzystuje się między innymi wirusy, czy plazmidy. Inżynieria genetyczna jest wykorzystywana przy leczeniu wielu chorób (między innymi terapia genowa) i niewątpliwie jest to niezwykle ważna i istotna gałąź nauki. Manipulacja ludzkimi genami – w tym naprawianie bądź wyłączanie wadliwych genów – budzi jednak wiele sprzeciwów, bowiem uważa się, że może się ona wymknąć spod kontroli.

Terapia komórkami macierzystymi to zabieg z zakresu medycyny regeneracyjnej. To dziedzina medycyny, która skupia się na wykorzystaniu własnego potencjału organizmu do odnawiania i odbudowy uszkodzonych tkanek. Komórki macierzyste to jednostki strukturalne, które dają początek wszystkim tkankom naszego organizmu. Posiadają zdolność do nieograniczonej liczby podziałów. Z łatwością samo odnawiają się, a także potrafią przekształcać w komórki innych typów. Komórka macierzysta po wszczepieniu do organizmu potrafi rozpoznać, które tkanki są uszkodzone, naprawić je i nie zostać przy tym odrzucona – pochodzi w końcu z tego samego organizmu. Te cechy pozwoliły na wykorzystanie komórek macierzystych w wielu dziedzinach medycyny, w tym m.in. w ortopedii i medycynie

estetycznej. Medycyna regeneracyjna to interdyscyplinarna dziedzina, łącząca wiedzę z zakresu inżynierii tkankowej i biologii molekularnej w celu wspomagania procesów gojenia, regeneracji i naprawy uszkodzonych komórek, tkanek oraz narządów.

W ostatniej dekadzie nastąpił rozkwit przemysłu biofarmaceutycznego, a wraz z nim szybkie wprowadzanie biofarmaceutyków na rynek. Branża ta oferuje bogatą gamę produktów, od szczepionek dla terapii spersonalizowanych po produkty celowane i leki specjalistyczne na wiele chorób rzadkich. Biofarmaceutyki – białka (w tym przeciwciała), kwasy nukleinowe (DNA i RNA lub antysensowne oligonukleotydy) używane do celów terapeutycznych lub celów diagnostycznych *in vivo*, wytwarzane z zastosowaniem biotechnologii. Biofarmaceutyki mogą być wytwarzane z komórek bakterii (np. *E. coli* lub rekombinacji kultur drożdży), linii komórek ssaków (hodowli komórkowej), kultur komórek roślinnych (kultury tkanek roślinnych) i mchów roślin w różnych konfiguracjach bioreaktorów. Leki biotechnologiczne i konwencjonalne leki chemiczne różnią się fundamentalnie pod względem struktury i mechanizmów działania. Leki biotechnologiczne są wytwarzane przez żywe komórki, a leki chemiczne w procesach chemicznych.

Rozwój genetyki oferuje ogromne możliwości medyczne, ale niesie ze sobą ryzyko naruszenia godności i autonomii jednostki. Etyka w genetyce wymaga równowagi między postępem naukowym a poszanowaniem praw człowieka, z naciskiem na dobro pacjenta, poufność i zapobieganie nowym formom dyskryminacji. Genetyka i etyka to nierozzerwalnie związane dziedziny, gdzie postęp w genetyce rodzi fundamentalne pytania o granice ingerencji w ludzki genom (np. selekcja, modyfikacje), ochronę prywatności danych genetycznych, kwestie dyskryminacji, autonomię pacjenta (zgoda na badania) i odpowiedzialność moralną za kształtowanie przyszłych pokoleń, balansując między potencjalnymi korzyściami (leczenie chorób) a ryzykiem eugeniki czy naruszenia praw jednostki, co wymaga silnych ram prawnych i etycznych, jak Kodeks Etyki Lekarskie