Developments and new models in human gene therapy

Autor(en): **Friedmann, Ted**

Objekttyp: **Article**

Zeitschrift: **Jahresbericht / Schweizerische Akademie der Medizinischen Wissenschaften = Rapport annuel / Académie Suisse des Sciences Médicales = Rapporto annuale /Accademia Svizzera delle Scienze Mediche = Annual report / Swiss Academy of Medical Sciences**

Band (Jahr): **- (1989)**

PDF erstellt am: **27.05.2024**

Persistenter Link: https://doi.org/10.5169/seals-308356

Nutzungsbedingungen

Die ETH-Bibliothek ist Anbieterin der digitalisierten Zeitschriften. Sie besitzt keine Urheberrechte an den Inhalten der Zeitschriften. Die Rechte liegen in der Regel bei den Herausgebern.
Die auf der Plattform e-periodica veröffentlichten Dokumente stehen für nicht-kommerzielle Zwecke in Lehre und Forschung sowie für die private Nutzung frei zur Verfügung. Einzelne Dateien oder Ausdrucke aus diesem Angebot können zusammen mit diesen Nutzungsbedingungen und den korrekten Herkunftsbezeichnungen weitergegeben werden.
Das Veröffentlichen von Bildern in Print- und Online-Publikationen ist nur mit vorheriger Genehmigung der Rechteinhaber erlaubt. Die systematische Speicherung von Teilen des elektronischen Angebots auf anderen Servern bedarf ebenfalls des schriftlichen Einverständnisses der Rechteinhaber.

Haftungsausschluss

Alle Angaben erfolgen ohne Gewähr für Vollständigkeit oder Richtigkeit. Es wird keine Haftung übernommen für Schäden durch die Verwendung von Informationen aus diesem Online-Angebot oder durch das Fehlen von Informationen. Dies gilt auch für Inhalte Dritter, die über dieses Angebot zugänglich sind.

Ein Dienst der *ETH-Bibliothek*
ETH Zürich, Rämistrasse 101, 8092 Zürich, Schweiz, www.library.ethz.ch

http://www.e-periodica.ch

DEVELOPMENTS AND NEW MODELS IN HUMAN GENE THERAPY

TED FRIEDMANN

The development of viral vectors for efficient transfer and expression of foreign genes in mammalian cells has provided technical support for the concept that some human diseases may eventually be treated through correction of the underlaying genetic defect – gene therapy. A number of important model systems have been developped in which defects of the immune system and other bone marrow derived cells, the liver, the central nervous system, and some tumor cells have been corrected *in vitro* through the introduction of a foreign normal gene. The expression of the human LDL (low densitiy lipoprotein) receptor gene has corrected abnormal cholesterol biosynthesis in enzyme deficient cells. The introduction of the human retinoblastoma gene (Rb) into Rb cells has restored gene product expression and has suppressed the tumorigenicity of the cells. Foreign gene expression in cells grafted to the central nervous system has modified cell survival and behaviour in rat models of Alzheimer's and Parkinson's diseases. These and other studies indicate that the conceptually new form of disease treatment based on correction of the causation genetic defect is likely to become a feasible form of therapy for some human diseases.