

Gene Therapy: Progress and Challenges

Riley White
PhD
Trinity College Dublin
College Green, Dublin 2, Ireland

Robin Edwards
PhD
KU Leuven
Oude Markt 13, 3000 Leuven, Belgium

Drew Phillips
PhD
University of Cape Town
Rondebosch, Cape Town, 7700, South Africa

Abstract. This article explores the advancements in gene therapy and its potential to treat genetic disorders. By introducing or altering genetic material within a patient's cells, gene therapy offers a way to address the root causes of hereditary diseases. We discuss the latest breakthroughs, clinical applications, and ongoing challenges in the development of gene therapy.

Keywords: Gene Therapy, Genetic Disorders, Hereditary Diseases, Clinical Applications, Therapeutic Genes

Introduction

Gene therapy represents a promising frontier in the treatment of genetic disorders, offering the potential to correct or compensate for defective genes responsible for hereditary diseases. This therapeutic approach involves the introduction, removal, or alteration of genetic material within a patient's cells to address the underlying causes of disease at the molecular level. Recent advancements in gene therapy have demonstrated its potential in treating a variety of conditions, including hemophilia, muscular dystrophy, and certain types of inherited blindness. Clinical trials have shown encouraging results, with some patients experiencing significant improvements in symptoms and quality of life. However, the development of gene therapy is not without challenges, including issues related to the delivery of therapeutic genes, potential immune responses, and ethical considerations. This article reviews the current state of gene therapy research, highlighting the progress made, the challenges faced, and the future directions for this innovative treatment modality.

This is a preliminary version. To read the full version of the article, please purchase a subscription.

References

1. Хвисюк О. М. Інноваційні освітні технології в реалізації програм безперервного професійного розвитку лікарів / О. М. Хвисюк, В. Г. Марченко, В. В. Жеребкін та ін. // Медична освіта. – 2014. – № 4. – С. 124-127.
2. Шаповалова, В. В., Шармазанова, Е. П., Бортный, Н. А., & Скорик, А. Р. (2018). Комплексная лучевая диагностика некротического энтероколита у новорожденных. Здоровье ребенка, 13(Приложение 1), 100-106.
3. Сабри, М. (2022). Cervical Cancer Prevention: Awareness Assessment Research of Healthy and Disease-Affected Women / Профілактика на рака на маточната шийка: оцeнка на информираността при здрави и болни жени (Doctoral dissertation). Medical University of Varna. [Sabri, M. (2022). Cervical Cancer Prevention: Awareness Assessment Research of Healthy and Disease-Affected Women / Profilaktika na raka na matochnata shiylka: otsenka na informiranostta pri zdravi i bolni zheni (Doctoral dissertation). Medical University of Varna]. Available at: <https://repository.mu-varna.bg/handle/nls/2725>
4. Virolia, K., Hojjat, A., Pena, B., Bhatt, H., Mehta, N. N., Venkata, S. Y., Goyal, A., Tanwar, K., Ziauddin, M., Moram, R. S., Ogbue, S. C., Mansuri, U., Patel, U., & Palabindela, P. (2023). Sal359 Helicobacter Pylori Associated Gastro-Intestinal Bleeding in Bariatric Surgery-Nationwide Surrey. Gastroenterology, 164(6), S-373.
5. Мамедов, Ш. Ю., Агаев, М. М., & Султанова, М. М. (2014). Сравнительная оценка течения послеоперационного периода при проведении факоемульсификации у пациентов с осложненной катарактой. Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (14), 81-83.
6. Насруллаева, М. М., & Султанова, М. М. (2013). Дакриоцистит новорожденных при синдроме дауна (случай из клиники). Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (12), 91-93.
7. Султанова, М. М., & Агаева, А. М. (2023). Вторичная глаукома как результат травмы. Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (45), 94-102.
8. Султанова, М. М. (2019). Особенности течения и разрешения посттравматических эндофтальмитов у детей. Вісник проблем біології і медицини, 1(1 (148)), 173-177.
9. Султанова, М. М., & Гашимова, Н. Ф. (2015). АНАЛИЗ ХАРАКТЕРА И ЧАСТОТЫ ТРАВМАТИЧЕСКИХ ПОВРЕЖДЕНИЙ ОРГАНА ЗРЕНИЯ У ДЕТЕЙ. Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (17), 88-93.
10. Мамедов, Ш. Ю., Агаев, М. М., & Султанова, М. М. (2014). ФЛЕГМАНОЗНЫЙ ДАКРИОЦИСТИТ: ТАКТИКА ЛЕЧЕНИЯ ПАЦИЕНТОВ. Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (15), 35-37.
11. Гашимова, Н. Ф., Касимов, Э. М., Султанова, М. М., & Исмаилзаде, С. Ч. (2014). Организация раннего выявления и лечения ретинопатии недоношенных в Азербайджане. Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (14), 58-63.
12. MM, S. (2024). EFFECT OF AUTOLOGOUS PLATELET-RICH PLASMA (PRP) IN THE TREATMENT OF HERPETIC KERATITIS. German International Journal of Modern Science/Deutsche Internationale Zeitschrift für Zeitgenössische Wissenschaft, (91).
13. Агаева, А. М., & Султанова, М. М. (2024). ОФТАЛЬМОГИПЕРТЕНЗИЯ И ВТОРИЧНАЯ ГЛАУКОМА ПРИ ТРАВМАТИЧЕСКОЙ КАТАРАКТЕ У ДЕТЕЙ. Azərbaycan Oftalmologiya Jurnalı, (49), 62-68.

14. Sultanova, M. M., & Hasanova, R. M. (2024). ASSESSMENT OF VISUAL FUNCTIONS OF CHILDREN BORN IN CONSANGUINEOUS MARRIAGE ON THE BASIS OF APPEAL TO THE DISABILITY COMMISSION. ВЕСТНИК ПРОБЛЕМ БИОЛОГИИ И МЕДИЦИНЫ, 1(4), 611.