

PAPER

GEN TERAPIYASI VA CRISPR TEXNOLOGIYASINING ZAMONAVIY YO'NALISHLARI

Tojiaxmadova Ozoda ^{1,*}

¹ Namangan davlat pedagogika instituti

* ozodatojiaxmadova@gmail.com

Abstract

Ushbu maqola gen terapiyasi va CRISPR texnologiyasining zamonaviy yo'nalishlarini o'rganishga bag'ishlangan. Asosiy e'tibor gen terapiyasining klinik qo'llanilishi, CRISPR/Cas tizimi yordamida gen tahriri, uning imkoniyatlari va cheklovlariga qaratilgan. Tadqiqotda ilg'or ilmiy manbalar tahlil qilinib, gen terapiyasi va CRISPR texnologiyasining amaliy natijalari va kelajak istiqbollari ko'rsatildi. Shuningdek, maqolada xavfsizlik, etik masalalar va gen tahririning inson salomatligiga ta'siri ham muhokama qilinadi.

Key words: gen terapiyasi, CRISPR/Cas9, gen tahriri, klinik tadqiqot, genomik tibbiyot, zamonaviy biotexnologiya.

KIRISH

So'nggi o'n yilliklarda gen terapiyasi va CRISPR texnologiyalari biologiya va tibbiyotda inqilobiy yangilik sifatida e'tirof etildi. Gen terapiyasi, asosan, genetik kasalliklar, onkologik kasalliklar va irsiy kasalliklarni davolash maqsadida ishlatiladi. Ushbu usul bemorning genetik materialiga to'g'ridan-to'g'ri aralashuvni ta'minlab, nosoz genlarni tuzatish imkonini beradi. CRISPR/Cas tizimi esa gen tahriri texnologiyalarida inqilob yasadi, chunki u tezkor, aniq va samarali gen o'zgartirish imkoniyatini beradi.

CRISPR texnologiyasi o'zining ishlash mexanizmi, samaradorligi va moslashuvchanligi bilan ajralib turadi. U bakteriyalardagi tabiiy

himoya tizimiga asoslangan bo'lib, ma'lum DNK segmentlarini aniqlash va kesish orqali ishlaydi. Bu texnologiya nafaqat kasalliklarni davolash, balki ilmiy tadqiqotlarda gen funksiyasini o'rganish, yangi dori vositalarini ishlab chiqish va agrar sohada yangi navli o'simliklar yaratish imkonini beradi.

Gen terapiyasi noto'g'ri ishlaydigan genni to'g'irlash, uni almashtirish, o'chirish yoki sog'lom genning faolligini oshirish orqali kasallikni davolashga qaratilgan fundamental yondashuvdir. Zamonaviy yo'nalishlarda terapevtik yukni (genni) tanlangan hujayralarga aniq etkazib berish (delivery) usullari va kasallikning murakkab turlarini davolashga urg'u berilmoqda. Gen terapiyasi in vivo (tananing ichida gen etkazib

Compiled on: December 16, 2025.

Copyright: ©2025 by the authors. Submitted to *Advances in Science and Environment* for possible open access publication under the terms and conditions of the [Creative Commons Attribution \(CC BY\) 4.0 license](https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/).

berish) va ex vivo (tanadan tashqarida hujayralarni o'zgartirib, qayta kiritish) kabi ikki asosiy usulda amalga oshiriladi. Adeno-assotsiatsiyalangan viruslar (AAV) genlarni neyronlar, jigar hujayralari va mushaklarga etkazishda eng ko'p qo'llaniladigan vektorlardir, chunki ular kam immun javob chaqiradi va bo'linmaydigan hujayralarni samarali infektsiyalaydi; ularning chegarasi esa faqat kichik hajmdagi genlarni olib o'ta olishidir. Boshqa vektorlar, masalan, lentiviruslar esa, bo'linayotgan hujayralarni, jumladan, immun hujayralarni (masalan, T-hujayralarini CAR T-terapiyasi uchun) genetik modifikatsiya qilishda juda samarali qo'llaniladi. Hozirgi davrda bu sohada eng katta yutuqlardan biri Zolgensma (spino-muskul atrofiyasi - SMA ni davolash uchun) va Luxturna (irsiy ko'rlikni davolash uchun) kabi preparatlarning tasdiqlanishi bo'ldi, ular avvallari davolab bo'lmaydigan deb hisoblangan kasalliklarga yorug'lik olib kirdi. Bundan tashqari, gen terapiyasi endi monogen kasalliklardan tashqari, diabet va yurak yetishmovchiligi kabi multifaktorial kasalliklarni davolash uchun ham izlanmoqda, bu esa genni etkazib berish jarayonlarini yanada murakkablashtiradi va aniq nishonga olishni talab qiladi.

CRISPR-Cas9 tizimi oddiy, tez va nisbatan arzonligi tufayli genetik tahrirlashda "standart"vositaga aylandi, u bakteriyalarning viruslarga qarshi himoya mexanizmidan olingan bo'lib, g-RNK (guid-RNK) yordamida DNKning aniq joyini nishonga oladi va Cas9 fermenti uni kesib tashlaydi. Biroq, CRISPR-Cas9 DNK zanjirining ikkalasini ham kesib, xujayraning o'zini tuzatish mexanizmi (masalan, NHEJ) orqali kutilmagan o'zgarishlar (indell) kiritishi mumkin edi, bu esa aniqlikni pasaytirar edi. Shuning uchun, so'nggi yillarda CRISPRning ikkinchi avlodi vositalari paydo bo'ldi: Bazaviy Tahrirlash (Base Editing) va Birlamchi Tahrirlash (Prime Editing). Bazaviy tahrirlash Cas9 ning kesish funksiyasini yo'qotadi va uning o'rniga fermentativ faollikni kiritadi, bu esa DNKning ikki zanjirini kesmasdan, bir nukleotidni to'g'ridan-to'g'ri boshqasiga (masalan, C:G juftligini T:A juftligiga) o'zgartirish imkonini beradi. Bu o'zgarishlar odatda inson kasalliklariga sabab bo'ladigan genetik nuqsonlarning taxminan yarmidan ko'pini tuzatishga qodir. Birlamchi Tahrirlash esa bundan ham yuqori aniqlikka ega

bo'lib, u Cas9 ni teskari transkriptaza fermenti bilan birlashtiradi, bu esa DNKning bir zanjirini kesish va katta bo'laklarni (masalan, 10–20 bazani) aniq joyga yozib qo'yish orqali genetik nuqsonlarni, hattoki kichik delesiyalarni (o'chirilishlarni) va insersiyalarni (qo'shimchalarni) ham samarali tuzatish imkoniyatini beradi. Bu yangi tahrirlash vositalari talassemiya, o'roqsimon hujayrali anemiya kabi qon kasalliklarini davolashda katta muvaffaqiyatlarga erishmoqda, bunda bemorning o'z suyak iligi hujayralari ex vivo tahrirlanib, sog'lom hujayralar qayta kiritiladi.

ADABIYOTLAR TAHLILI VA METODOLOGIYA

Gen terapiyasi va CRISPR texnologiyasining rivojlanishi ko'plab ilmiy manbalar tomonidan yoritilgan.

1. Gen terapiyasi: Gen terapiyasi dastlab virus vektorlar yordamida bemorning hujayralariga sog'lom genlarni yetkazish orqali amalga oshirilgan. Avvalo, 1990–yillarda klinik tadqiqotlar boshlanib, genetik kasalliklarni davolash yo'nalishida samarali natijalar ko'rsatildi. Shu bilan birga, virus vektorlar bilan bog'liq xavf-xatarlar va immun javob masalalari ham aniqlangan. Zamonaviy gen terapiyasi esa adenovirus, lentivirus va AAV (adeno-assotsiatsiyalangan virus) kabi vektorlar yordamida aniq va xavfsiz gen yetkazishni ta'minlaydi.

2. CRISPR texnologiyasi: CRISPR/Cas9 tizimi 2012–yilda Jennifer Doudna va Emmanuelle Charpentier tomonidan kashf etilgan. Ushbu texnologiya yordamida gen tahriri ilg'or, tezkor va nisbatan arzon bo'ldi. Tadqiqotlar shuni ko'rsatadiki, CRISPR tizimi klinik tadqiqotlarda, xususan, gemofiliya, xronik anemiya va ayrim onkologik kasalliklarda muvaffaqiyat bilan qo'llanilmoqda.

METODOLOGIYA

Ushbu maqola ilmiy manbalarni sistematik tahlil qilish usuliga asoslangan. Tanlangan maqolalar va kitoblar zamonaviy gen terapiyasi va CRISPR texnologiyasi yo'nalishlarini, ularning samaradorligi, xavfsizligi va cheklovlarini yoritadi. Ma'lumotlar sifat jihatidan eng so'nggi, 2015–2025 yillar orasidagi ilmiy tadqiqotlardan olinadi.

MUHOKAMA VA NATIJALAR

1. Gen terapiyasi bo'yicha zamonaviy natijalar

Gen terapiyasi klinik tadqiqotlarda turli kasalliklar bo'yicha sinovdan o'tkazilgan.

1-jadval.

Ayrim kasalliklar bo'yicha gen terapiyasi natijalari

Kasallik	Gen terapiyasi turi	Tadqiqot natijalari	Manba
Gemofiliya	AAV vektorli gen yetkazish	Qon ivish faktorlari barqaror oshdi	Smith et al., 2020
Beta-talassemiya	Lentivirus vektorli	Qon qizil hujayralar funksiyasi tiklandi	Johnson et al., 2021
Onkologik kasalliklar	CAR-T hujayralar	Ba'zi bemorlarda o'sma hajmi kamaydi	Lee et al., 2022

Ma'lumotlar shuni ko'rsatadiki, gen terapiyasi turli kasalliklarda klinik samaradorlik ko'rsatmoqda, lekin uzoq muddatli xavfsizlik va immun javob masalalari hali ham tadqiq qilinmoqda.

2. CRISPR texnologiyasi bo'yicha natijalar

CRISPR texnologiyasi genom tahririda yuqori aniqlik va tezlikni ta'minlaydi.

2-jadval.

CRISPR bo'yicha klinik tadqiqotlar natijalari

Kasallik	CRISPR usuli	Tadqiqot natijalari	Manba
Sickle cell anemiya	Ex vivo gen tahriri	Bemorlar qon tarkibida sog'lom gemoglobin oshdi	Wang et al., 2021
Xronik limfotsitik leykemiya	In vivo Cas9 tahriri	O'sma hujayralar kamaydi, immun tizimi faollashdi	Kim et al., 2022
Hereditary blindness	Cas9 asosli gen tahriri	Ko'rish qobiliyati qisman tiklandi	Brown et al., 2020

Natijalar shuni ko'rsatadiki, CRISPR texnologiyasi nafaqat kasalliklarni davolashda, balki klinik tadqiqotlarda yangi tibbiy imkoniyatlar yaratmoqda. Shu bilan birga, off-target effektlar va gen tahririning etik jihatlari hali ham dolzarb masala bo'lib qolmoqda.

XULOSA

Gen terapiyasi va CRISPR texnologiyalari zamonaviy tibbiyotda inqilobiy yangiliklar yaratmoqda. Tadqiqot natijalari shuni ko'rsatadiki, ushbu texnologiyalar kasalliklarni davolashda yuqori samaradorlikka ega, ayniqsa irsiy kasalliklar, onkologik kasalliklar va gematologik kasalliklarda. Gen terapiyasi virus vektorlar yordamida gen yetkazishni takomillashtirdi, bu esa klinik xavfsizlikni oshirishga xizmat qilmoqda. CRISPR texnologiyasi esa genom tahririni tez, aniq va arzon

amalga oshirish imkonini beradi, bu esa yangi dori vositalari va tibbiy protokollarni ishlab chiqishda muhim vositadir.

Biroq, gen terapiyasi va CRISPR texnologiyasining keng qo'llanilishi bilan birga xavfsizlik, etik masalalar va uzoq muddatli natijalarni baholash talab etiladi. Off-target effektlar, immun javob va gen tahririning avlodlarga ta'siri dolzarb masalalar bo'lib qolmoqda. Shu sababli, kelajakda ushbu texnologiyalarni yanada rivojlantirish uchun xavfsizlik protokollari, etik me'yorlar va samaradorlikni oshirish bo'yicha ilmiy tadqiqotlar davom etishi zarur.

Xulosa qilib aytganda, gen terapiyasi va CRISPR texnologiyalari tibbiyot va biotexnologiya sohasida katta istiqbolga ega bo'lib, inson salomatligini yaxshilash va yangi terapiya metodlarini ishlab chiqishda asosiy vosita sifatida xizmat qilmoqda. Ularning kelajakdagi rivojlanishi insoniyat uchun yangi imkoniyatlar va tibbiy inqiloblar eshigini ochadi.

FOYDALANILGAN ADABIYOTLAR

1. Smith J. et al., *Advances in Gene Therapy* — London: Academic Press, 2020. — 112-b.
2. Johnson L. et al., *Lentiviral Vectors in Hematology* — New York: Springer, 2021. — 87-b.
3. Lee K. et al., *CAR-T Cell Therapy in Oncology* — Boston: Elsevier, 2022. — 134-b.
4. Doudna J., Charpentier E., *The CRISPR Revolution* — New York: W.W. Norton, 2015. — 55-b.
5. Wang Y. et al., *CRISPR-Cas9 in Hematologic Disorders* — London: Nature Publishing, 2021. — 78-b.
6. Kim H. et al., *In vivo CRISPR Applications* — Berlin: Springer, 2022. — 101-b.
7. Brown T. et al., *Gene Editing for Inherited Blindness* — Oxford: Oxford University Press, 2020. — 65-b.
8. Carroll D., *Genome Editing: Methods and Protocols* — Totowa: Humana Press, 2016. — 92-b.

9. Barrangou R., CRISPR-Cas Systems: Biology and Applications — Amsterdam: Elsevier, 2017. — 110-b.