

## ABORDAREA MOLECULAR-GENETICĂ ÎN TRATAMENTUL SCLEROZEI LATERALE AMIOTROFICE

Rintu Ann Rej

Conducător științific: Ludmila Sidorenko

Catedra de biologie moleculară și genetică umană, USMF „Nicolae Testemițanu”

**Introducere.** Scleroza laterală amiotrofică (ALS, cunoscută și sub numele de boala Lou Gehrig) este o afecțiune neurodegenerativă fatală care aparține unui spectru de boli care împărtășește constatări clinice, genetice și patologice. ALS afectează neuronii motori superiori (UMN) din cortexul motor și neuronii motori inferiori (LMN) din trunchiul cerebral și măduva spinării. **Scopul lucrării.** A evalua abordarea genetică în tratamentul sclerozei laterale amiotrofice. **Material și metode.** Cercetarea se bazează pe surse bibliografice care au fost analizate folosind PubMed, Google Scholar, ScienceDirect și surse web, publicate în perioada 2013-2023. **Rezultate.** În scleroza laterală amiotrofică, peste 50 de gene au fost identificate fie ca cauză, fie ca modificador în boala din spectrul ALS. Modelul de moștenire variază în funcție de gena implicată. Majoritatea cazurilor sunt moștenite într-un model autozomal dominant, ceea ce înseamnă că o copie a genei modificate din fiecare celulă este suficientă pentru a provoca tulburarea. În scleroza laterală amiotrofică (ALS), terapia genică poate ajuta dacă poate furniza o proteină benefică, pentru a salva. Celulele nervoase muribunde. Terapia genică este pur și simplu un mijloc de a stimula producția la fața locului a unui factor trofic (de îmbunătățire a creșterii), în locurile în care celulele nervoase au probleme. **Concluzii.** Deoarece ALS este doar una dintre multiplele boli neurodegenerative legate de gene, o comparație cu alte boli similare, cum ar fi atrofia musculară spinală, arată că tratamentele genetice în ALS sunt posibile. **Cuvinte-cheie:** Scleroza laterală amiotrofică, boală neurodegenerativă, terapie genică.

## MOLECULAR GENETIC APPROACH IN THE TREATMENT OF AMYOTROPHIC LATERAL SCLEROSIS

Rintu Ann Reji

Scientific adviser: Ludmila Sidorenko

Department of Molecular Biology and Human Genetics, *Nicolae Testemițanu* University

**Background.** Amyotrophic lateral sclerosis (ALS, also known as Lou Gehrig's disease) is a fatal neurodegenerative condition that belongs to a disease spectrum sharing clinical, genetic, and pathological findings. ALS affects upper motor neurons (UMNs) in the motor cortex and lower motor neurons (LMNs) in the brainstem and spinal cord. **Objective of the study.** To assess the genetic approach in treatment for amyotrophic lateral sclerosis. **Material and methods.** The research is based on bibliographic sources that were analyzed using PubMed, Google Scholar, ScienceDirect and web sources, published within the period of 2013-2023. **Results.** In amyotrophic lateral sclerosis, over 50 genes have been identified as either causes or modifiers in ALS spectrum disease. The pattern of inheritance varies depending on the gene involved. Most cases are inherited in an autosomal dominant pattern, which means one copy of the altered gene in each cell is sufficient to cause the disorder. In amyotrophic lateral sclerosis (ALS), gene therapy may help if it can deliver a beneficial protein, to salvage dying nerve cells. The gene therapy simply is a means to boost on-site production of a trophic (growth-enhancing) factor, at places where nerve cells are in trouble. **Conclusion.** Since ALS is only one of the multiple gene-related neurodegenerative diseases, a comparison to other similar diseases such as spinal muscular atrophy shows that genetic treatments for ALS are possible. **Keywords:** Amyotrophic lateral sclerosis, neurodegenerative disease, gene therapy.