

Zeitschrift: Jahresbericht / Schweizerische Akademie der Medizinischen Wissenschaften = Rapport annuel / Académie suisse des sciences médicales = Rapporto annuale / Accademia svizzera delle scienze mediche

Herausgeber: Schweizerische Akademie der Medizinischen Wissenschaften

Band: - (1989)

Artikel: Developments and new models in human gene therapy

Autor: Friedmann, Ted

DOI: <https://doi.org/10.5169/seals-308356>

Nutzungsbedingungen

Die ETH-Bibliothek ist die Anbieterin der digitalisierten Zeitschriften auf E-Periodica. Sie besitzt keine Urheberrechte an den Zeitschriften und ist nicht verantwortlich für deren Inhalte. Die Rechte liegen in der Regel bei den Herausgebern beziehungsweise den externen Rechteinhabern. Das Veröffentlichen von Bildern in Print- und Online-Publikationen sowie auf Social Media-Kanälen oder Webseiten ist nur mit vorheriger Genehmigung der Rechteinhaber erlaubt. [Mehr erfahren](#)

Conditions d'utilisation

L'ETH Library est le fournisseur des revues numérisées. Elle ne détient aucun droit d'auteur sur les revues et n'est pas responsable de leur contenu. En règle générale, les droits sont détenus par les éditeurs ou les détenteurs de droits externes. La reproduction d'images dans des publications imprimées ou en ligne ainsi que sur des canaux de médias sociaux ou des sites web n'est autorisée qu'avec l'accord préalable des détenteurs des droits. [En savoir plus](#)

Terms of use

The ETH Library is the provider of the digitised journals. It does not own any copyrights to the journals and is not responsible for their content. The rights usually lie with the publishers or the external rights holders. Publishing images in print and online publications, as well as on social media channels or websites, is only permitted with the prior consent of the rights holders. [Find out more](#)

Download PDF: 30.06.2025

ETH-Bibliothek Zürich, E-Periodica, <https://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 underlying genetic defect – gene therapy. A number of important model systems have been developed 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 density 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.