

Výzkum v oblasti genové terapie má potenciál se stát revolučním přístupem k léčbě širokého spektra neurologických onemocnění. Léčit tyto poruchy kauzálně, specifickou substitucí, delecí, umlčením nebo úpravou vadných genů, by mohlo být výsadou genové terapie. Koncept translační medicíny je soustředěn na přenos principů fungování v preklinickém výzkumu do léčby u lidí. Jeho klíčovým problémem je překonat omezení spojená s velkou mezerou mezi obrovskou rozmanitostí nástrojů molekulární biologie preklinického výzkumu a nedostatkem odpovídajících možností u lidí. Klinickou implementaci většiny předklinických přístupů je stále možné považovat za omezenou. Hlavním záměrem této práce je shrnout nejnovější pokroky nástrojů molekulárního a genetického inženýrství, které samotné nebo v kombinaci mají potenciál posunout většinu preklinické genové terapie neurologických onemocnění do klinické praxe.