نجاح التجربة الأولى من نوعها في عكس الداء المنجلي!



التاريخ: ٤ أيار/مايو ٢٠١٧

أعلن العلماء عن نجاح تقنية علاجية جينية جديدة لعكس الداء المنجلي لأول مرة. وبالرغم من أن هذه الدراسة كانت لحالة واحدة أُجرِيَت على شاب فرنسي، فإن علاماتها الأولية مُشجِّعة وبالتالي من الممكن أن تؤدي إلى علاج فعّال لملايين الأفراد المصابين بهذا المرض العُضال حول العالم.

يحدث الداء المنجلي عندما يتغيّر قليلًا شكل أحد البروتينات المكوِّنة لنمط الهيموغلوبين الناقل للأوكسجين ضمن الجسم.

يعد هذا التغير الصغير كافيا لجعل كريات الدم الحمراء التي تحتويه أقل مرونة حيث يُبدّل شكلها لتصبح ذات شكل منحني (منجلي) مما يزيد خطورة تجمّع وتراكم هذه الخلايا أثناء مرورها ضمن الأوعية الدموية.

تمكن الباحثون من استعادة مرونة كريات الدم الحمراء عند الشاب الفرنسي باستخدام فيروس لإدخال جينات تُعطي الشكل الصحيح لهذا البروتين ضمن نقي العظم.

توقف المريض عن تناول أدويته بعد ١٥ شهرًا من العلاج، وبالرغم من أنه مازال من المُبكِّر جدًا التأكّد من شفاء المريض وظيفيًا ولكن هذه الحالة إلى الآن جيدة جدًا لهذا النوع المبتكر الرائد من العلاج.

أعلن أحد أعضاء الفريق لـ **BBC** ويدعى فيليب ليبولش **Philippe Leboulch** من جامعة باريس في فرنسا: "إلى الآن لم يُبدي المريض أي علامة للمرض، أو أي ألم،أو أي حاجة للاستشفاء، كما أنه لم يعد يحتاج إلى نقل الدم ونحن متفائلون جدًا بذلك".

ولكن بالتأكيد نحن بحاجة لتطبيق هذا العلاج نفسه على عدة مرضى حتى نثق بفعاليته بشكل كافٍ لاعتماده كعلاج عام.

يسبب الداء المنجلي حالة تُدعى بنقص التروية **ischemia** أي توقف تدفق الأوكسجين إلى أجزاء من الجسم مما يسبب الألم، و أذية للعضو وقد ينتهي بالموت في بعض الحالات.

العلاج الوحيد طويل الأمد المتوافر حاليًا هو زرع نقي العظم ولكنها عملية ذات خطورة عالية وصعبة وليس كل مريض مؤهلًا لها. ولكن باعتبار أنّ الداء المنجلي يتضمن طفرة على جزء صغير من الترميز الجيني للجسم (ينتج عنها بروتين غلوبين بيتا غير طبيعي يُعرَف بالهيموغلوبين S) فهو مُرَشَّح من الدرجة الأولى للعلاج الجيني الذي يعكس هذه الطفرة.

وعلى الرغم من وجود بعض المخاوف من إساءة استعمال تقنيات العلاج الجيني، ولكن لدى العلماء الآن المعرفة عن كيفية تصحيح بعض الطفرات الجينية.

في هذه الحالة قد أزال العلماء الخلايا الجذعية من نقي عظم الشاب وأضافوا فيروس مُعَدّ بشكل خاص ومُصمَّم لإعادة ترميز الخلايا لإنتاج الهيموغلوبين الطبيعي من جديد، ثم أُعيدَ نقل الخلايا إلى المريض.

تشير تقارير الأطباء أن نصف كريات الدم الحمراء عند المريض نظامية وصحيّة ولم يحتاج إلى أي عملية نقل دم منذ ثلاثة أشهر بعد خضوعه لأول علاج.

لقد جُرِّبَ هذا النوع من العلاج في البداية على الفئران في ٢٠٠١ ولكن مازال أمامنا طريق طويل قبل الإعلان عن هذا العلاج كعلاج فعّال طويل الأمد للداء المنجلي.

يُختَبَر عدد من تقنيات العلاج الجيني الأخرى حاليًا وليست جميعها مُبَشِّرةً كهذه التقنية ولكن العلماء مستمرون بهذه الطريقة حتى يجدوا علاجًا قابل للتطبيق على أغلبية المرضى وذو تكلفة مقبولة.

أعلن ديبوراه جيل **Deborah Gill** لـ **BBC** وهو من فريق البحث الطبي الجيني في جامعة أوكسفورد **Oxford** ولكنه غير مشارك بهذه الدراسة: "لقد عَمِلت في مجال العلاج الجيني لوقت طويل وقمنا بخطواتٍ صغيرة ونعلم أنّه مازال أمامنا سنوات من العمل ولكن في هذه

الحالة لدينا فرد تلقّى العلاج الجيني وشُفِيَ سريرياً بشكل تام، وبالتالي فهذه خطوة عظيمة إلى الأمام".

نُشِرَ البحث في دورية **The New England Journal of Medicine**.

- التاريخ: 2017-05-30
- التصنيف: طب الأعصاب

#العلاج #الداء المنجلي #العضال

المصادر

- ScienceAlert
- الورقة العلمية
- الصورة

المساهمون

- ترجمة
  - لمى زهر الدين
- مُراجعة
  - أنس الأبكع
- تحرير
  - طارق نصر
  - عبد الرحمن سوالمه
- تصميم
  - محمد نور حماده
- نشر
  - روان زيدان