دواء جديد يقي من الأذية الرئوية في الداء الليفي الكيسي



حسَّنَ دواءٌ طُوِّرَ للداء الليفي الكيسي من الوظيفة الرئوية عند الأطفال الأقل من 12 عاماً، وهذا أمرٌ واعدٌ بإمكانية علاج أو عكس الأذية الرئوية المهددة للحياة الناتجة عن هذا المرض الجيني.

وقد علق نيك ميدهرست **Nick Medhurst**، وهو رئيس السياسة العامة في مؤسسة المملكة المتحدة الخيرية اتحاد الداء الليفي الكيسي **The Cystic Fibrosis Trust** على ذلك: "إنها خطوةٌ عظيمة إلى الأمام فما أظهرته هذه النتائج هو احتمال قدرتنا على منع هذه الأذية غير المعكوسة".

فمنذ اكتشاف جين **CFTR** في عام 1989 حاول الباحثون تطوير أدوية تستهدف البروتين المعيب المسؤول عن الداء الليفي الكيسي

ونجحوا بذلك قليلاً. فطُوِّرَ دواء **Kalydeco**، وأصبح متاحاً منذ عام 2012، والذي يهدف إلى مساعدة الخلايا على إنتاج نسخة صحيحة من بروتين **CFTR**، ولكنه يعمل فقط على طفرات CFTR الموجودة لدى 5% فقط من مرضى الداء الليفي الكيسي. ولكن وبجمع **Kalydeco** مع دواء آخر يُدعى **lumacaftor** ضمن دواء وحيد دُعِيَ **Orkambi**، استهدف الأطباء طفرة **CFTR** الأشيع، ووسعوا بذلك خيارات العلاج لتشمل نصف مرضى هذا الداء.

وقد تمت الموافقة على **Orkambi** في الولايات المتحدة والاتحاد الأوروبي ودول أخرى، وقد قلل عدد الأخماج الرئوية التي يُصاب مرضى الداء الليفي الكيسي بها. ولكنه غير متوافر في الخدمات الصحية الوطنية **NHS** في المملكة المتحدة، لأن مجلس **NICE** الذي يقيّم فعالية الدواء نسبة للتكلفة اعتبر فوائد **Orkambi** قليلة جداً نسبةً لتكلفته العالية، حيث يكلف العلاج 104,000 جنيه أسترليني في العام.

ولكن تشير نتائج جديدة من المرحلة الثالثة لتجربة سريرية إمكانية إيقاف الدواء للأذية الرئوية غير القابلة للتغيير، والتي يعاني منها مرضى الداء الليفي الكيسي خلال حياتهم، كما تشير أيضاً إلى فائدة الدواء عند الأطفال الصغار. أما في الوقت الحالي فقد تمت الموافقة على **Orkambi** في الاتحاد الأوروبي عند الأفراد الأكبر من 12 سنة.

ويقول فيليكس راتجن **Felix Ratjen** من مشفى مرضى الأطفال في جامعة تورونتو **Toronto** في كندا: "لقد أظهرنا أن **Orkambi** يؤدي إلى تحسن في الوظيفة الرئوية حتى عند المرضى الصغار ذوي المرض المعتدل نسبياً".

***زيادة الأوكسجين:**

قام فريق **Ratjen** بتجربة تضمنت 204 طفلاً بعمر يتراوح من 6 إلى 11 عام، حيث تلقى 103 طفلاً منهم **Orkambi** مرتين في اليوم لستة أشهر، بينما تلقى 101 طفلاً منهم دواءً كاذباً. وفي نهاية التجربة تحسن مقياسان للصحة الرئوية عند من تلقوا الدواء. أولاً: تحسن أخذ الأطفال للأوكسجين بمقدار 10%. ثانياً: انخفضت كمية الكلور في العرق بمقدار 20% تقريباً. وبشكل نموذجي يحتوي عرق المصابين بالداء الليفي الكيسي على ثلاثة أضعاف قيمة الملح الموجود في عَرَق بقية الأشخاص وذلك نتيجة لسوء وظيفة بروتينات **CFTR**.

وتقول كارلا كولومبو **Carla Colombo** من جامعة ميلان في إيطاليا: "أعتقد أن هذه النتائج مهمة، حيث تُقدِّم دليلاً على أن إصلاح العيب الأساسي المرافِق للطفرة الأشيع في الداء الليفي الكيسي ممكن عند الأطفال أيضاً". ويقول **Ratjen** أننا بحاجة إلى تجارب أطول بالأمد لإثبات فعالية **Orkambi** في علاج الأذية في الداء الليفي الكيسي ولكن الإشارات الأولية جيدة: "الفكرة في التدخل الباكر أنه يجب التدخل عندما يكون الضرر لا يزال محدوداً".

أما **Medhurst** فيقول بأن النتائج الأخيرة ستعزز دعم اتحاد الداء الليفي الكيسي وغيره لتوافر أوسع للدواء **Orkambi**: "تعزز هذه البيانات وغيرها حول العالم هذه الحالة بشكلٍ هام".

كما أنه يُطَوَّر دواء ثالث يُدعى **tezacaftor** لمرضى الداء الليفي الكيسي غير المستفيدين من **Orkambi** لأسباب جينية، فقد يوسع **tezacaftor** العلاج ليشمل 90% من مرضى هذا الداء. كما تشير النتائج المبكرة أن هذا الدواء مع **Kalydeco** قد يحسنان من الوظيفة الرئوية في بعض الأنماط الجينية ويُخطَّط حالياً إلى تجارب أكبر.

ملاحظات من المترجم:

الداء الليفي الكيسي مرض يصيب وظيفة الغدد خارجية الإفراز ويؤدي إلى أخماج تنفسية مزمنة، نقص إنزيمات البنكرياس وغيرها،

وتحدث الأذية الرئوية عند 90% من المرضى وتشكل السبب الرئيسي للموت.

يرمز الجين **CFTR** إلى بروتين غشائي يُرمَز له **CFTR** ويُدعى البروتين المنظِّم للتوصيل الغشائي في التليف الكيسي، ويعمل هذا البروتين كقناة عبر غشاء الخلايا الظهارية المُنتِجة للمخاط، والعرق، واللعاب، والدمع، والإنزيمات الهضمية. حيث تُخرِج هذه القناة شوارد الكلور المشحونة سلباً إلى خارج الخلايا وهذا بدوره يساهم بتنظيم حركة الماء ضمن النسج وبالتالي إنتاج مخاط سائل رقيق، ويتعطل هذا البروتين في الداء الليفي الكيسي مما يؤدي إلى زيادة لزوجة مفرزات الخلايا الظهارية في الرئة والبنكرياس وغيرها...

- التاريخ: 2019-02-10
- التصنيف: أمراض مزمنة

#دواء #الداء الليفي #الأذية الرئوية

المصادر

- newscientist
- الورقة العلمية

المساهمون

- ترجمة
  - لمى زهر الدين
- مُراجعة
  - راما السلامة
- تحرير
  - رأفت فياض
  - شذى رزوق
- تصميم
  - إبراهيم رفاعي
- نشر
  - غيث معمو