

دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک

ژن درمانی متحول کننده، شنوایی بیماران ناشنوا را تنها در عرض چند هفته پس از

تنها یک تزریق بازایی می‌کند

یک مطالعه جدید گزارش می‌دهد که ژن‌درمانی پیشرفته به بازایی شنوایی در کودکان و بزرگسالان مبتلا به نوع ژنتیکی ناشنوایی یا اختلال شنوایی شدید کمک کرده است. بهبود شنوایی تنها یک ماه پس از یک تزریق برای اکثر بیماران قابل توجه بود و همه افراد ظرف شش ماه بهبود قابل توجهی را تجربه کردند. این درمان که از یک ویروس مصنوعی برای رساندن یک کپی عملکردی از یک ژن معیوب به گوش داخلی استفاده می‌کند، قبلاً در کودکان آزمایش شده است، اما هرگز در نوجوانان و بزرگسالان مورد آزمایش قرار نگرفته است. مائولی دوان، یکی از نویسندگان مسئول این مطالعه، در بیانیه‌ای گفت: «این یک گام بزرگ به جلو در درمان ژنتیکی ناشنوایی است، گامی که می‌تواند زندگی کودکان و بزرگسالان را تغییر دهد.» محققان 10 بیمار با محدوده سنی یک تا 24 سال را که همگی نوع نادری از ناشنوایی مادرزادی یا اختلال شنوایی شدید ناشی از جهش در یک ژن واحد به نام OTOF داشتند، استخدام کردند. این ژن نقش مهمی در ارسال سیگنال‌های شنوایی از گوش به مغز دارد و بدون آن، فرد قادر به شنیدن نیست. با این حال، با رساندن یک نسخه سالم از ژن OTOF از طریق یک تزریق از طریق غشایی در پایه حلزون گوش، این تیم توانست این اختلال را بهبود بخشد. آنها برای انجام این کار از یک ویروس آدنو-آسپتیک مصنوعی (AAV) استفاده کردند که در پنج بیمارستان در چین تجویز

شد و اثر آن سریع بود. در عرض یک ماه، اکثر بیماران تا حدودی شنوایی خود را بازیافتند و در عرض شش ماه، همه آنها بهبود قابل توجهی را نشان دادند. به طور متوسط، میزان صدای قابل درک از 106 دسی بل به 52 دسی بل افزایش یافت - این تقریباً معادل صدای یک موتورسیکلت تا صدای باران است. برای بیماران جوان‌تر، بین 5 تا 8 سال، پاسخ به طور ویژه قابل توجه بود، اما همچنان برای دو شرکت‌کننده مسن‌تر، که به ترتیب 14 و 24 سال سن داشتند، مؤثر بود. دوان توضیح داد: "این اولین بار است که این روش در نوجوانان و بزرگسالان نیز آزمایش می‌شود. شنوایی در بسیاری از شرکت‌کنندگان به میزان قابل توجهی بهبود یافته است، که می‌تواند تأثیر عمیقی بر کیفیت زندگی آنها داشته باشد. اکنون این بیماران را پیگیری خواهیم کرد تا ببینیم این اثر چقدر ماندگار است." نکته مهم این است که این درمان به خوبی تحمل شد و هیچ عارضه جانبی جدی در دوره پیگیری یک ساله مشاهده نشد. اگرچه تحقیقات بیشتری با حجم نمونه‌های بزرگتر مورد نیاز است، اما این یافته‌ها برای حدود 200000 نفر در سراسر جهان که به دلیل جهش OTOF ناشنوا هستند، امیدبخش است. دانشمندان همچنین خوشبین هستند که این درمان می‌تواند به سایر علل ناشنوایی نیز گسترش یابد: «ما و سایر محققان در حال گسترش کار خود به سایر ژن‌های رایج‌تر که باعث ناشنوایی می‌شوند، مانند GJB2 و TMC1 هستیم. درمان این ژن‌ها پیچیده‌تر است، اما مطالعات حیوانی تاکنون نتایج امیدوارکننده‌ای به همراه داشته است. ما اطمینان داریم که بیماران مبتلا به انواع مختلف ناشنوایی ژنتیکی روزی قادر به دریافت درمان خواهند بود.» OTOF فقط آغاز کار است.

<https://www.iflscience.com/life-changing-gene-therapy-restores-hearing-in-deaf-patients-within-weeks-after-just-one-shot-79871>