

دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک

ژن درمانی جدید، پیشرفت بیماری هانتینگتون را تا ۷۵ درصد کند می‌کند

پروفسور اد وایلد، محقق ارشد، می‌گوید این احتمالاً اولین درمان دارای مجوز برای کند کردن روند بیماری هانتینگتون است و این "همه چیز را تغییر می‌دهد". یک ژن درمانی جدید پیشرفت بیماری هانتینگتون را تا ۷۵٪ کاهش داده است. این دارو که با نام AMT-130 شناخته می‌شود، از طریق جراحی مغز به بیمار منتقل می‌شود و انتظار می‌رود یک دوز آن تا آخر عمر برای فرد کافی باشد. پروفسور اد وایلد، محقق اصلی، گفت: "این نتیجه همه چیز را تغییر می‌دهد." جک می-دیویس، سی ساله، که در این آزمایش‌ها شرکت داشت، گفت که نتایج "شگفت‌انگیز" بوده و او را "حیرت‌زده" کرده است. هانتینگتون یک بیماری عصبی است که با گذشت زمان بدتر می‌شود و هیچ درمانی ندارد و بر تفکر، حرکت و خلق و خو تأثیر می‌گذارد. حدود ۸۰۰۰ نفر در بریتانیا از آن رنج می‌برند. در حالی که این بیماری معمولاً حدود ۲۰ سال طول می‌کشد، از دست دادن عملکرد می‌تواند خیلی سریع شروع شود. در یک آزمایش، به ۱۲ بیمار بالاترین دوز AMT-130 داده شد. محققان گزارش دادند که آنها پس از ۳۶ ماه، در مقایسه با گروهی از افراد مبتلا به هانتینگتون که این درمان را دریافت نکرده بودند، ۷۵٪ پیشرفت بیماری کمتری را تجربه کردند. محققان گفتند که AMT-130 با وارد کردن دائمی DNA عملکردی جدید به سلول‌های فرد عمل می‌کند. پروفسور وایلد، از مرکز بیماری‌های هانتینگتون در دانشگاه کالج لندن (UCL)، گفت: «بر اساس این نتایج، به نظر می‌رسد که AMT-130 اولین درمان دارای

مجاز برای کاهش سرعت بیماری هانتینگتون باشد، که واقعاً چیزی است که جهان را تغییر می‌دهد.» «بیماران من در این آزمایش به مرور زمان پایدار هستند، به گونه‌ای که من به دیدن آن در بیماری هانتینگتون عادت ندارم.» وی افزود که یکی از آنها بازنشسته پزشکی بود، اما توانسته است به کار خود بازگردد.

یافته‌های کاملاً نفس‌گیر

پروفسور وایلد به جین سکر، مجری اسکای نیوز، گفت که کاهش ۷۵ درصدی «کاملاً نفس‌گیر است... اگر به موقع درمان کنیم، می‌تواند سال‌ها یا دهه‌ها زندگی با کیفیت بالا یا حتی رهایی کامل از بیماری باشد». او افزود: «بدون شک بیمارانی در این آزمایش حضور دارند که تا الان روی ویلچر بوده‌اند، اما هنوز می‌توانند راه بروند و مستقل هستند.» «و اگر بتوانیم این درمان را تا حد امکان برای افراد بیشتری انجام دهیم، تأثیر آن بر خانواده‌هایی که با این بیماری برای خود و فرزندانشان دست و پنجه نرم می‌کنند، بسیار زیاد خواهد بود.»

آیا می‌توان از بروز علائم جلوگیری کرد؟

پروفسور سارا تبریزی، که او نیز از UCL است، گفت که AMT-130 پتانسیل «حفظ عملکرد روزانه»، حفظ افراد در محل کار برای مدت طولانی‌تر و «کاهش معنادار پیشرفت بیماری» را دارد. او به جین سکر گفت که افراد حاضر در آزمایش «بیماری علامت‌دار بسیار اولیه» داشتند، اما امیدوار است که این درمان در آینده به افرادی که «بیماری در مرحله صفر و مرحله یک دارند و هیچ علامتی ندارند» داده شود. «و اینکه روزی بتوانیم از بروز علائم جلوگیری کنیم، که این یک پیشگیری واقعی در افرادی است که ژن هانتینگتون را دارند اما هنوز علائمی ندارند. و این

هدف تمام تحقیقات ما در حال حاضر است.» جک می-دیویس، اهل ساسکس، در ۱۹ سالگی متوجه شد که حامل ژن هانتینگتون است. دو عضو خانواده، از جمله پدرش، بر اثر هانتینگتون درگذشتند. او گفت: "واقعاً شگفتانگیز است. وقتی شروع به شرکت در آزمایش‌ها کردم، هرگز فکر نمی‌کردم چیزی در این بازه زمانی توسعه یابد که واقعاً برای من مفید باشد." این لحظه بزرگی است که برای خانواده‌هایی که ژن هانتینگتون را حمل می‌کنند، بسیار مهم خواهد بود. "پروفسور مایک هانا، مدیر موسسه مغز و اعصاب کوئین اسکوئر UCL، گفت: "این یافته‌ها به فصل جدیدی در توسعه ژن درمانی برای بیماری هانتینگتون اشاره دارد و ارتباط روشنی با سایر اختلالات عصبی مخرب دارد." کت استنی، مدیر اجرایی انجمن بیماری هانتینگتون، گفت: "این یک پیشرفت قابل توجه است و مطمئنم که برای هر کسی که مبتلا به بیماری هانتینگتون است، امید به ارمغان خواهد آورد. «این آزمایش کاهش شگفتانگیز ۷۵ درصدی پیشرفت بیماری را نشان می‌دهد.» «این قابل توجه است و خوش‌بینی بسیار مورد نیاز را برای جامعه‌ی بیماران هانتینگتون به ارمغان خواهد آورد.»

<https://news.sky.com/story/new-gene-therapy-slows-progression-of-huntingtons-disease-by-75-13437292>