(دکتر مریم اسلامی)

آیا می توان Haemophilia را با یک ژن درمانی جدید که ۲,۵ میلیون پوند در هر جیب هزینه دارد ، "درمان کرد"؟

داروی ژنتیکی که به عنوان "نزدیک به یک درمان" برای اختلال خونریزی کشنده مورد استقبال قرار گرفته است ، توسط نگهبانان بهداشت اروپا چراغ سبز داده شده است

در کارآزمایی ها ، یک بار استفاده منفرد **Roctavian** نه بیمار از ده بیمار بدون علائم و دیگر نیازی به تزریق روزانه که معمولاً برای کنترل وضعیت آنها لازم نیست ، باقی مانده است.

هفته گذشته آژانس داروهای اروپایی درمان را تصویب کرد اما قیمت آن ممکن است آن را از دسترس بیماران NHS دور کند.

MOS گفته است که می تواند ۱,۵ میلیون پوند تا ۲,۵ میلیون پوند در هر دوز داشته باشد ، و آن را به یکی از گرانترین داروهای تا کنون تبدیل کرده است.

هفته گذشته آژانس داروهای اروپایی ، معادل آژانس نظارتی داروهای دارویی و مراقبت های بهداشتی انگلیس ، این درمان را تصویب کرد و در را برای استفاده گسترده خود در اینجا باز کرد.

دکتر رشید کازمی ، مشاور خونریزی در بیمارستان دانشگاه Southampton NHS Trust Trust ، می گوید: "هنگامی که آخرین نتایج آزمایش **Roctavian** در ماه مارس اعلام شد ، ما خوشحال بودیم.

برای تأیید آن در انگلستان ، قیمتش باعث نگرانی است. اما هموفیلی یک بیماری مادام العمر است و درمان آن برای NHS حدود ۳۰۰۰ پوند در ماه برای هر بیمار هزینه دارد.

"بیش از دهه ها ، این اضافه می شود. آنها پس از یک بار استفاده از **Roctavian** ، می توانند زندگی را به صورت عادی زندگی کنند.

"این یک درمان نیست ، زیرا برای همه کار نمی کند ، اما به همان اندازه ما به درمان نزدیک شده ایم."

هموفیلی یک بیماری نادر است که در اثر گسل ژنتیکی ایجاد می شود به این معنی که بدن در تولید پروتئین به نام فاکتور VIII مشکل دارد که برای لخته شدن خون لازم است.

این وضعیت که در خانواده ها اجرا می شود ، معمولاً در اوایل کودکی جمع می شود و حدود ۸،۷۰۰ نفر در انگلیس در حال حاضر با آن زندگی می کنند. در موارد خفیف ، مبتلایان هنوز هم برخی از عوامل VIII را تولید می کنند.

این بدان معناست که آنها توانایی تشکیل لخته های خون را دارند و ممکن است به سادگی خونریزی بینی و کبودی آسان را تجربه کنند.

اما بیش از نیمی از بیماران تقریباً هیچ تولید نمی کنند و آنها را در برابر خونریزی مغزی و خونریزی داخلی خود به خودی از اندام خود آسیب پذیر می کنند.

در حال حاضر ، مبتلایان با تزریق فاکتور VIII مشکلات را در معرض خطر قرار می دهند. با ، **Roctavian** همچنین به عنوان Valoctocogene Roxaparvovec شناخته می شود ، قطعاتی از کد

ژنتیکی مفقود شده مورد نیاز برای تولید فاکتور VIII به یک ویروس بی ضرر که از طریق قطره ای به بیمار منتقل می شوند ، کاشته می شوند.

ویروس سپس به کبد نفوذ کرده و ژن ها را منتقل می کند و بدن را قادر می سازد فاکتور VIII را برای خود تولید کند.

در جدیدترین کارآزمایی ، به ۱۳۴ بیمار تزریق **Roctavian** داده شد. پس از یک سال ، نه در ده سال به طور موثری درمان شد - با سطح عادی یا نزدیک به فاکتور VIII عادی. پس از دو سال ، برخی از آنها عود کرده بودند اما ۷۵ درصد هنوز هم خفیف یا کاملاً طبیعی بودند.

https://www-dailymail-co-uk.cdn.ampproject.org/c/s/www.dailymail.co.uk/health/article-10975839/amp/Could-haemophilia-cured-new-gene-therapy-costs-2-5million-jab.html