

(دکتر مریم اسلامی)

مزایای ژن درمانی توسط CRISPR برای بیماران مبتلا به اختلالات خونی

در یک چکیده جدید ارائه شده در کنگره انجمن هماتولوژی اروپا (EHA)، گروهی از محققان شامل بیمارستان کودکان فیلادلفیا (CHOP) داده های جدیدی را در مورد یک درمان تحقیقاتی برای تالاسمی بتا وابسته به انتقال خون (TDT و سلول داسی شکل شدید SCD) ارائه کردند. درمان به موقع که توسط Vertex Pharmaceuticals و CRISPR Therapeutics توسعه یافته است، تا سه سال پس از تجویز، با مشخصات ایمنی همانطور که برای پیوند اتولوگ انتظار می رود و به طور بالقوه بسیار ایمن تر از پیوند آلوژنیک (از یک اهداکننده) است، مزایای مداومی را نشان داد. استفان آ، نویسنده ارشد چکیده و پیشگام ایمونوتراپی، گفت: این داده ها شواهد بیشتری را ارائه می دهند که این درمان پتانسیل تحولی برای بیماران مبتلا به بیماری سلول داسی شکل و بتا تالاسمی را دارد. MD، Ph.D.، رئیس بخش سلول درمانی و پیوند و مدیر افتتاحیه مرکز ایمونوتراپی سرطان سوزان اس و استفان پی کلی در CHOP. اگرچه ما باید به بررسی ماندگاری این نتایج ادامه دهیم، من در مورد داده های فعلی هیجان زده هستم. "چکیده داده های جدیدی از دو کارآزمایی بالینی بر روی (exa-cel (exagamglogene autotemcel)، که قبلاً به عنوان CTX001 شناخته می شد، ارائه می دهد، یک درمان یکبار مصرف که از ویرایش ژن CRISPR برای تقویت تولید هموگلوبین جنینی برای اصلاح ژن معیوب هموگلوبین مرتبط با هر دو بیماری را استفاده می کند. محققان نتایج 75 بیمار را ارائه کردند: 44 بیمار مبتلا به TDT و 31 با SCD. از 44 بیمار مبتلا به TDT، 42 نفر در پیگیری بدون تزریق بودند که بین 1.2 تا 37.2 ماه پس از تزریق exacel بود. همه 31 بیمار مبتلا به SCD در پیگیری، که بین 2 تا 32.3 ماه متغیر بود، بدون بحران انسداد عروق بودند. ایمنی به طور کلی تحت شرایط میلوآبلازیو با بوسولفان و پیوند سلول های بنیادی اتولوگ سازگار بود. دو نفر از 44 بیمار مبتلا به TDT عوارض جانبی جدی (SAEs) به طور بالقوه مرتبط با exa-cel داشتند، در حالی که هیچ یک از بیماران SCD به SAE مربوط به سلول درمانی در نظر نگرفتند.

<https://medicalxpress-com.cdn.ampproject.org/c/s/medicalxpress.com/news/2022-06-benefits-crispr-edited-gene-therapy-patients.amp>