

دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک

آغاز نخستین کارآزمایی بالینی سلول درمانی برای بیماری هانتینگتون

پژوهشگران در مرکز درمانی دانشگاه کالیفرنیا، ارواین (UCI Health)، نخستین کارآزمایی بالینی در انسان را برای بررسی اثربخشی سلول‌های بنیادی عصبی در درمان بیماری هانتینگتون آغاز کرده‌اند. این مطالعه با عنوان **REGEN4HD*** یک کارآزمایی فاز ۱ b/2a است که هدف اصلی آن ارزیابی ایمنی و امکان‌پذیری این روش درمانی نوین است.

در این مطالعه از محصولی به نام **hNSC-01** استفاده می‌شود که شامل سلول‌های بنیادی عصبی مشتق‌شده از سلول‌های بنیادی جنینی است. این سلول‌ها طی یک جراحی استریوتاکتیک و با هدایت تصویربرداری **MRI** به ناحیه استریاتوم مغز تزریق می‌شوند؛ ناحیه‌ای که در بیماری هانتینگتون به شدت آسیب می‌بیند.

نخستین بیمار این مطالعه در ماه مه ۲۰۲۶ تحت درمان قرار گرفت. به گفته پژوهشگران، این بیمار تاکنون عارضه جانبی جدی مرتبط با درمان گزارش نکرده است. همچنین برنامه‌ریزی شده است که بیمار دوم نیز در ادامه وارد مطالعه شود.

بیماری هانتینگتون یک اختلال ژنتیکی پیشرونده و کشنده است که باعث تخریب تدریجی نورون‌های مغزی می‌شود. علائم بیماری معمولاً بین ۳۵ تا ۵۰ سالگی آغاز شده و طی ۱۰ تا ۲۰ سال پیشرفت می‌کند. مشکلات حرکتی، اختلالات شناختی و تغییرات خلقی از مهم‌ترین تظاهرات بالینی این بیماری هستند.

بر اساس مطالعات پیش‌بالینی، سلول‌های **hNSC-01** قابلیت‌های متعددی دارند، از جمله:

محافظت از نورون‌های سالم در برابر مرگ سلولی؛

جایگزینی بخشی از سلول‌های عصبی از دست رفته؛

بازسازی مدارهای عصبی آسیب‌دیده؛

افزایش ترشح فاکتورهای نوروتروفیک مانند **BDNF**؛

کاهش تجمع پروتئین‌های سمی که در آسیب نورونی نقش دارند. این نتایج پیش‌تر در مدل‌های حیوانی مشاهده شده‌اند.

این کارآزمایی با حمایت مالی حدود ۱۲ میلیون دلاری **California Institute for Regenerative Medicine** ***(CIRM)** انجام می‌شود و قرار است در مجموع ۲۱ بیمار مبتلا به مراحل اولیه بیماری هانتینگتون را وارد مطالعه کند. دوازده بیمار در بخش افزایش تدریجی دوز **(Phase 1b)** و ۹ بیمار در بخش توسعه مطالعه **(Phase 2a)** شرکت خواهند کرد.

پژوهشگران تأکید می‌کنند که هدف فعلی این مطالعه، ارزیابی ایمنی درمان است و هنوز برای نتیجه‌گیری درباره اثربخشی بالینی زود است. با این حال، اگر این روش در مطالعات آینده موفقیت‌آمیز باشد، می‌تواند روند پیشرفت بیماری را کند کرده، مدت استقلال بیماران را افزایش دهد و بار مراقبتی و اقتصادی بیماری را برای خانواده‌ها کاهش دهد.

<https://www.genengnews.com/topics/translational-medicine/first-in-human-stem-cell-therapy-trial-for-huntingtons-disease-begins-at-uci-health>