

Προκαταρκτικά θετικά αποτελέσματα

Γονιδιακή θεραπεία ίσως ωθήσει στην ίαση της αιμορροφιλίας

Δημοσίευση: 07 Δεκ 2017, 12:06 | Τελευταία ενημέρωση: 07 Δεκ 2017, 12:06



Δέκα άνδρες με αιμορροφιλία που υποβλήθηκαν σε γονιδιακή θεραπεία κατάφεραν να παράγει ο οργανισμός τους παράγοντα πήξης του αίματος με αποτέλεσμα να εξαιρεθεί η ανάγκη της συνήθους θεραπευτικής αγωγής.

Όπως αναφέρουν σε σχετικό άρθρο που δημοσίευσαν στο επιστημονικό έντυπο *New England Journal of Medicine* οι ερευνητές από το Νοσοκομείο Παιδών της Φιλαδέλφια των ΗΠΑ, «αν και η γονιδιακή θεραπεία ήταν ο ιδανικός θεραπευτικός στόχος λόγω των επιδράσεων της δεν την ονομάζουμε ίαση της αιμορροφιλίας Β, δεδομένου ότι δεν είναι ξεκάθαρο ακόμα αν τα οφέλη της θα είναι μόνιμα».

«Αλλά σε κάθε περίπτωση η πειραματική γονιδιακή θεραπεία παρήγαγε μια πραγματικά σημαντική αλλαγή στη ζωή των ανδρών αυτών. Τους

απελευθέρωσε και τους βοήθησε να ζουν μια φυσιολογική ζωή. Αυτό σημαίνει ότι μπορούσαν να ζουν την καθημερινότητά τους χωρίς τον φόβο της αιμορραγίας», συμπληρώνει η συγγραφέας της μελέτης Δρ Λιντσεϊ Τζορτζ.

Η αιμορροφιλία προκύπτει από μια κληρονομική γονιδιακή μετάλλαξη που παρεμποδίζει την ικανότητα του οργανισμού να παράγει σε φυσιολογικά επίπεδα τον παράγοντα πήξης του αίματος. Αυτό καθιστά τους ασθενείς ευάλωτους σε αυθόρμητες αιμορραγίες ή ακατάσχετα αιμορραγικά επεισόδια συνέπεια τραυματισμών. Η διαταραχή διακρίνεται σε δύο τύπους, την Αιμορροφιλία Α, που αφορά περίπου στο 80% των ασθενών και την Αιμορροφιλία Β, η οποία επηρεάζει περίπου 1 στους 30.000 άρρενες.

Επειδή η υπολειπόμενη γονιδιακή διαταραχή σχετίζεται με το χρωμόσωμα Χ, οι γυναίκες μπορεί να είναι φορείς αλλά να μην εκδηλώνουν τη νόσο. Στην συνήθη θεραπεία προφύλαξης περιλαμβάνονται εβδομαδιαίες εγχύσεις παράγοντα πήξης για την πρόληψη των αιμορραγιών.

Στο πλαίσιο της νέας μελέτης, η Δρ Τζορτζ και οι συνεργάτες της χορήγησαν μια δόση της γονιδιακής θεραπείας σε κάθε έναν από τους δέκα πάσχοντες από Αιμορροφιλία Β, απευθείας στο ήπαρ, διότι εκεί παράγεται φυσιολογικά ο παράγοντας ΙΧ, η πρωτεΐνη δηλαδή που επιτρέπει στο αίμα να πήξει σωστά.

Η θεραπεία περιελάμβανε το γονίδιο που κωδικοποιεί έναν φυσιολογικό παράγοντα πήξης που είναι οκτώ με δέκα φορές πιο ισχυρός από τον παράγοντα ΙΧ-Padua.

Όλοι οι ασθενείς επωφελήθηκαν από τη θεραπεία καθώς κατάφεραν να απενταχθούν από την κατηγορία της σοβαρής νόσησης και σχεδόν εξαλείφθηκαν οι αιμορραγίες στις αρθρώσεις στους. Οκτώ στους δέκα δεν χρειάζονταν πλέον επιπρόσθετη αγωγή και εννέα στους δέκα δεν είχαν αιμορραγίες μετά τη γονιδιακή αγωγή. Κανείς δεν εκδήλωσε σοβαρές παρενέργειες.

«Πρόκειται για μια μεταμορφωτική μελέτη, καθώς μετέτρεψε ασθενείς υψηλού κινδύνου σε άτομα που μπορούν πια να ζουν τη ζωή τους φυσιολογικά. Μπορούν να παίρνουν μέρος σε αθλητικές δραστηριότητες, κάτι ανέφικτο για τους περισσότερους πάσχοντες από αιμορροφιλία», σχολιάζει σε συνοδευτικό άρθρο ο επίκουρος καθηγητής της Ιατρικής Σχολής του Πανεπιστημίου Στανφορντ, Μάθιου Πορτεους.

Και σπεύδει να σημειώσει ότι πρόκειται όμως για μόνο δέκα ασθενείς και η πραγματική πρόκληση είναι το καλό θεραπευτικό αποτέλεσμα να επαναληφθεί σε μεγαλύτερες πληθυσμιακές ομάδες.

Ένα εμπόδιο πάντως για τη γονιδιακή θεραπεία είναι ότι περίπου το ένα τρίτο των ασθενών με Αιμορροφιλία Β έχει προϋπάρχουσα ανοσία στον ιό που χρησιμοποιήθηκε για να φτάσει η γονιδιακή θεραπεία στο όργανο-στόχο του σώματος, γεγονός που τους καθιστά ακατάλληλους.

Ωστόσο, οι ερευνητές προσπαθούν πάνω στην ίδια βάση να αναπτύξουν μια παρόμοια γονιδιακή θεραπεία και για την Αιμορροφιλία Α, χωρίς όμως άμεσα αποτελέσματα.

Μαίρη Μπιμπή

health.in.gr