

Νέα γονιδιακή θεραπεία -Αποκατάσταση όρασης σε σπάνια μορφή τύφλωσης

[/ Γενικά Θέματα](#) / [Ειδήσεις και Ανακοινώσεις](#)



Βρετανοί επιστήμονες, χρησιμοποιώντας μια νέα γονιδιακή θεραπεία, κατάφεραν να αποκαταστήσουν σε ένα βαθμό την όραση σε έξι ασθενείς ηλικίας 35 έως 63 ετών, οι οποίοι έπασχαν από μια σπάνια εκ γενετής ασθένεια, την χοριοειδερμμία, που προκαλεί τύφλωση. Ήταν η πρώτη κλινική δοκιμή της θεραπείας και στέφθηκε με σχετική επιτυχία.

Οι γιατροί αισιοδοξούν ότι μελλοντικά μια ανάλογη θεραπεία θα μπορούσε να χρησιμοποιηθεί και σε πιο κοινές μορφές απώλειας της όρασης, όπως η εκφύλιση της ωχράς κηλίδος λόγω γήρανσης, η οποία πλήττει περίπου έναν στους τέσσερις ανθρώπους άνω των 75 ετών. Οι ερευνητές, με επικεφαλής τον καθηγητή χειρουργικής Ρόμπερτ ΜακΛάρεν, που έκαναν τη σχετική δημοσίευση στο ιατρικό περιοδικό "Lancet", σύμφωνα με το BBC και το "New Scientist", αντικατέστησαν - με τη βοήθεια ενός ακίνδυνου γενετικά τροποποιημένου ιού ως «οχήματος»- ένα ελαττωματικό γονίδιο στα κύτταρα (φωτο-υποδοχείς) των ματιών των ασθενών, πράγμα που κατέστησε τα τελευταία ευαίσθητα στο φως και πάλι.

Στους ασθενείς με χοριοειδερρημία (η οποία πλήττει περίπου έναν άνθρωπο στους 50.000) τα φωτο-ευαίσθητα κύτταρα του αμφιβληστροειδούς φακού σταδιακά καταστρέφονται και ο ασθενής σιγά-σιγά χάνει την όρασή του. Η ασθένεια, που πλήττει κυρίως τους άνδρες, προκαλείται από ένα ελαττωματικό γονίδιο, το CHM, στο χρωμόσωμα X. Η νέα θεραπεία -που «δουλεύει» μόνο αν τα κύτταρα του ματιού δεν έχουν καταστραφεί τελείως από τη νόσο- δεν αποκατέστησε πλήρως την όραση, αλλά τη βελτίωσε σημαντικά.

Οι έξι ασθενείς θα παρακολουθούνται και αν η βελτίωσή της όρασής τους αποδειχτεί μόνιμη, τότε η γονιδιακή θεραπεία θα εφαρμοστεί έγκαιρα και σε πιο νέους ασθενείς, ώστε να μη χάσουν σχεδόν καθόλου το φως τους. Αν και οι μελλοντικές κλινικές δοκιμές είναι επιτυχείς (η επόμενη, με 30 ασθενείς, θα ξεκινήσει το 2015), τότε η νέα θεραπεία αναμένεται να λάβει επίσημη έγκριση μετά από πέντε περίπου χρόνια.

Όπως είπε ο ΜακΛάρεν, «η χοριοειδερρημία εμφανίζει ορισμένες ομοιότητες με την εκφύλιση της ωχράς κηλίδος, καθώς ο θεραπευτικός στόχος μας είναι τα ίδια κύτταρα. Δεν ξέρουμε ακόμα σε ποιά γονίδια να εστιάσουμε την προσοχή μας για την εκφύλιση της ωχράς κηλίδος, όμως γνωρίζουμε πια πώς να το κάνουμε».

Πηγή: ikypros.com