

Νέα γενετική μέθοδος θεράπευσε τη μεσογειακή αναιμία σε πειραματόζωα

/ [Επιστήμες, Τέχνες & Πολιτισμός](#)



Επιστήμονες στις ΗΠΑ

χρησιμοποίησαν μια νέα τεχνική τροποποίησης του γονιδιώματος, με την οποία θεράπευσαν σε ποντίκια τη β-θαλασσαιμία ή μεσογειακή αναιμία.

Πρόκειται για μια κληρονομική νόσο του αίματος, που μειώνει την παραγωγή της αιμοσφαιρίνης και έτσι προκαλεί έλλειψη οξυγόνου στο σώμα, πράγμα που έχει ποικίλες συνέπειες (ωχροό δέρμα, αδυναμία, κόπωση και πιο σοβαρές επιπλοκές).

Οι ερευνητές των πανεπιστημίων Γέιλ και Κάρνεγκι Μέλον, με επικεφαλής τον καθηγητή Πίτερ Γκλέιζερ, που έκαναν τη σχετική δημοσίευση στο περιοδικό «Nature Communications», ανέπτυξαν μια νέα ελάχιστα επεμβατική στρατηγική για τη διόρθωση των μεταλλάξεων που προκαλούν τη θαλασσαιμία.

Οι ερευνητές χρησιμοποίησαν ένα καινοτόμο συνδυασμό από νανοσωματίδια, συνθετικά τμήματα DNA και ενδοφλέβια έγχυση. Η τεχνική θεράπευσε τα πειραματόζωα από την εν λόγω μορφή αναιμίας.

Παρότι το ποσοστό επιτυχίας ήταν γύρω στο 7%, όσον αφορά την επιτυχή γενετική διόρθωση στα αιματοποιητικά βλαστικύτταρα, αυτό ήταν αρκετό για να εξαφανισθεί η αναιμία. Τα ποντίκια δεν είχαν πια καθόλου συμπτώματα της νόσου και έπειτα από πέντε μήνες τα επίπεδα της αιμοσφαιρίνης στο αίμα τους ήσαν φυσιολογικά.

Το επίτευγμα ανοίγει το δρόμο για την εφαρμογή της νέας γενετικής τεχνικής στους ανθρώπους. Οι γιατροί ελπίζουν ότι θα καταφέρουν με τη βοήθεια της γενετικής να θεραπεύσουν τις κληρονομικές διαταραχές του αίματος, όπως η θαλασσαιμία και η δρεπανοκυτταρική αναιμία.

Οι Αμερικανοί επιστήμονες πήραν από το μυελό των οστών μια πρωτεΐνη που ενεργοποιεί τα βλαστικά κύτταρα του αίματος και συνδύασαν αυτή την πρωτεΐνη με συνθετικά μόρια (πεπτίδια νουκλεϊκού οξέος, γνωστά ως PNA), που μιμούνται το DNA και προσκολλώνται στο ελαττωματικό γονίδιο-στόχο HBB. Αυτό πυροδοτεί μέσα στο κύτταρο που παράγει το αίμα, μια διαδικασία αυτοδιόρθωσης της παθογόνου μετάλλαξης. Η μεταφορά των μορίων PNA γίνεται μέσω βιοσυμβατών νανοσωματιδίων, τα οποία εισάγονται στο σώμα με ενδοφλέβια ένεση.

Ο Π. Γκλέιζερ ανέφερε ότι η νέα μέθοδος είναι ανώτερη από εναλλακτικές γενετικές τεχνικές όπως η ανταγωνιστική CRISPR, η οποία μπορεί να έχει ανεπιθύμητες παρενέργειες, όπως η μετάλλαξη κάποιου άσχετου γονιδίου.

Αν η τεχνική αποδειχθεί όντως αποτελεσματική και στις μελλοντικές κλινικές δοκιμές σε άλλα ζώα, μπορεί τελικά να οδηγήσει στη θεραπεία της μεσογειακής αναιμίας στους ανθρώπους ?και πιθανώς και άλλων αιματολογικών διαταραχών όπως η δρεπανοκυτταρική αναιμία. Θα χρειασθούν όμως χρόνια, εωσότου υπάρξει οριστικό συμπέρασμα.

Πηγή: ikypros.com