



## اروپا مجوز نخستین ژن درمانی برای کودکان را صادر می کند

نخستین ژن درمانی حیات بخش برای کودکان که به وسیله دانشمندان ایتالیایی و شرکت گلاکسو اسمیت کلاین ایجاد شده برای تأیید در اروپا توصیه شده و به این ترتیب راه برای استفاده از این تکنولوژی پیشگام در ترمیم ژن های معیوب گشوده شده است.

همشهری آنلاین: نخستین ژن درمانی حیات بخش برای کودکان که به وسیله دانشمندان ایتالیایی و شرکت گلاکسو اسمیت کلاین ایجاد شده برای تأیید در اروپا توصیه شده و به این ترتیب راه برای استفاده از این تکنولوژی پیشگام در ترمیم ژن های معیوب گشوده شده است.

به گزارش رویترز سازمان دارویی اروپا (EMA) روز جمعه این درمان به نام استریمولیس (Stremvelis) را برای گروهی کوچکی از کودکان مبتلا به بیماری «ای دی ای - نقصان ترکیبی ایمنی» (ADA-SCID) تأیید کرده است که هیچ دهنده مغز استخوان سازگاری برایشان وجود ندارد.

هر سال حدود 15 کودک در اروپا با این اختلال ژنتیکی بسیار نادر به دنیا می آیند که باعث می شود آنان نتوانند یک نوع سلول سفید خون را بسازند. این کودکان ندرتاً بیش از دو سال زنده می مانند، مگر اینکه کارکرد ایمنی با پیوند مغز استخوان مناسب بازپایی شود.

SCID را گاهی بیماری «نوزاد حبابی» می نامند، چراکه دستگاه ایمنی کودکان متولد شده با این بیماری آن قدر ضعیف است که آنان مجبورند در محیط های عاری از میکروب زندگی کنند.

انتظار می رود که استریمولیس در یکی دو ماه آینده مجوز بازاریابی رسمی را از کمیسیون اروپا دریافت کند و به این ترتیب به دومین ژن درمانی بدل می شود که پس از درمان گلیبرا (Glybera) ساخت شرکت UniQure برای درمان یک عارضه نادر خونی بزرگسالان، در اروپا به تأیید رسیده است.

آغاز فروش گران قیمت ترین داروی جهان در اروپا

سازمان غذا و داروی آمریکا هنوز هیچ کدام از این ژن درمانی را تأیید نکرده است، اما شمار فزاینده ای شرکت های بیوتکنولوژی آمریکایی مانند Bluebird Bio فراورده های از این نوع را در دست تولید دارند.

شرکت های داروسازی بزرگ دیگر نیز به این حوزه چشم دوخته اند، از جمله شرکت بریستول-میرز اسکوییب که با شرکت UniQure پیوند دارد.