



استفاده از ویرایش ژن برای درمان بیماری‌های ژنتیکی

محققان دانشگاه زوریخ از ابزار ویرایش ژن برای اصلاح اختلالات ژنتیکی استفاده کردند.

محققان دانشگاه زوریخ از ابزار ویرایش ژن برای اصلاح اختلالات ژنتیکی استفاده کردند.

به گزارش ایسنا و به نقل از تلگراف، یک تیم تحقیقاتی از سوئیس اعلام کردند که از ابزار ویرایش ژنی برای اصلاح اختلالات ژنتیکی در موش‌ها و آزمایشگاهی استفاده کردند.

این محققان به اثبات رساندند که ممکن است روزی این ابزار برای انسان نیز عملی شود و از آن برای اصلاح برخی از اختلالات ژنتیکی به هنگام جنینی و یا پس از تولد استفاده کرد.

"جرالد شوانک" (Gerald Schwank) و همکارانش از "انستیتو تکنولوژی فدرال زوریخ" (ETH Zurich) از فناوری ویرایش ژن "کریسپر گس-۹" (CRISPR/Cas9) استفاده کردند تا یک ژن ویژه را در موش‌ها تغییر دهند. با استفاده از این روش یک مشکل کمبود آنزیمی که با یک بیماری اختلال ژنتیکی به نام "فیل کتونوری" مرتبط است، درمان شد.

بخشی از سیستم "کریسپر"، پروتئینی به نام گس-۹ (Cas9) است، که قابلیت جستجو، برش زدن و سرانجام دگرگون کردن "دی-ان-ا.ی" و "ای-ا.ی" ویروس را به روشی خاص دارد. فناوری کریسپر به دانشمندان اجازه می‌دهد، تغییراتی در دی-ان-ا.ی، ای-ا.ی و سلول‌ها ایجاد کنند.

بیماری فیل کتونوری یک نقص متابولیکی مادرزادی نادر است. اختلال اصلی در این بیماری، تجمع اسید آمینه فیل آلانین در مایعات بدن و سیستم عصبی است.

تجمع غیرطبیعی این اسید آمینه در بدن کودک، خطرناک است و منجر به بروز اختلالاتی در مغز و پوست می‌شود و در کودک عقب ماندگی ذهنی ایجاد می‌کند.

کودک مبتلا به بیماری "فیل کتونوری" در ابتدای تولد بدون علامت است اما به تدریج در پایان ماه‌ها و سال‌ها اول دچار تأخیر در تکامل، استفراغ، کاهش رشد، روشن شدن رنگ موهای سر و چشم و تشنج می‌شود. سپس با افزایش سن، کوچکی دورسر، بی‌قراری، کاهش توجه، حرکات تکراری دست‌ها و اندام‌ها و عقب‌ماندگی ذهنی بروز می‌کند.

کودکانی که با این اختلال متولد می‌شوند، باید رژیم غذایی خاصی داشته‌باشند تا اسیدآمینه "فیل-آلانین" در بدن آن‌ها تجمع نشود.

"جرالد شوانک" اظهار کرد، این روش پتانسیل بالایی برای کاربرد در انسان دارد.

این در حالی است که این گروه تحقیقاتی معتقدند پیش از انجام این روش روی انسان، باید آزمایشات متعددی روی حیوانات صورت گیرد تا از ایمنی آزمایش اطمینان حاصل شود.

"انستیتو تکنولوژی فدرال زوریخ" از یک ویروس استفاده کردند تا ویرایش ژن را انجام دهند.

فاز آتی مطالعات این است که بررسی کنند ویروس به کار برده شده عوارض جانبی دارد یا خیر؟

در روش "CRISPR-Cas9" متخصصان توالی‌های خاصی را در DNA سلول پیدا کرده و بخش‌هایی از آن را برش می‌زنند.

اخیرا همچنین محققان دانشگاه "پنسیلوانیا" در یک مطالعه مفهومی، برای اولین بار با استفاده از فناوری ویرایش ژن کریسپر (CRISPR) بر روی جنین موش‌ها، از متولد شدن آنها با اختلال متابولیک کشنده جلوگیری کردند.

این تحقیق پیشگامانه بر روی موش ZWNJ ؛هایی انجام شد که دارای نوعی تیروزینمی ارثی (HT1) بودند. این بیماری یک بیماری مادرزادی کبدی کشنده است که در انسان نیز ظاهر می ZWNJ ؛شود.

پژوهشگران از یک نوع جدید از ویرایش ژن کریسپر استفاده کردند که به عنوان ویرایش پایه شناخته می ZWNJ ؛شود.

"کران موسونورو" یکی از محققان ارشد این مطالعه گفت: ما از ویرایش پایه برای خاموش کردن اثرات جهش ژنتیکی ناشی از بیماری استفاده کردیم. ما همچنین قصد داریم از این تکنیک ویرایش پایه نه فقط برای برهم زدن اثرات جهش، بلکه برای اصلاح مستقیم جهش استفاده کنیم.

در این آزمایش خاص، جنین در رحم درمان نشد، بلکه به منظور اطمینان از ارسال دقیق ویرایشگر ژن به کبد، جنین به دقت از موش باردار بیرون آورده شد و دوباره پس از درمان وارد رحم مادر شد.

نتایج به دست آمده فوق العاده مثبت بود، زیرا موش ZWNJ ؛های ویرایش شده همه سالم، بدون مشکل و بدون عوارض جانبی متولد شدند.

نتایج این تحقیقات در مجله "journal Nature Medicine" انتشار یافت.