



بازگشت شنوایی از دست رفته با کمک یک روش جدید ژن‌درمانی

دانشمندان آمریکایی با استفاده از یک روش جدید ژن‌درمانی توانستند شنوایی از دست رفته موش‌ها را تا حدودی بازگردانند.

دانشمندان آمریکایی با استفاده از یک روش جدید ژن‌درمانی توانستند شنوایی از دست رفته موش‌ها را تا حدودی بازگردانند.

به گزارش ایسنا و به نقل از نیواطلس، دانشمندان "بیمارستان کودکان بوستون" (Boston Children's Hospital) توانستند با موفقیت از ژن‌درمانی برای بازگرداندن شنوایی از دست رفته موش‌ها استفاده کنند. این گروه پژوهشی، یک جهش ژنتیکی که بر سلول‌های مویی گوش داخلی تأثیر می‌گذارد، را اصلاح کردند. شاید روش جدید آنها بتواند به بهبود ژن‌درمانی در سایر اختلالات نیز کمک کند.

هدف این درمان جدید، ژنی موسوم به "STRC" بود که در ۱۶ درصد از موارد کم‌شنوایی ژنتیکی نقش دارد. این ژن، پروتئینی موسوم به "استریوسیلین" (Stereocilin) را رمزگذاری می‌کند که چارچوبی را برای سلول‌های مویی گوش به وجود می‌آورد تا آنها را در تماس با "غشای تکتوریال" (Tectorial membrane) نگه دارد. این غشا در واکنش به صدا، مرتعش می‌شود. سلول‌های مویی، این ارتعاشات را دریافت می‌کنند و آنها را به سیگنال‌های الکتریکی تبدیل می‌کنند که به مغز ارسال می‌شوند. بروز جهش در ژن STRC می‌تواند این فرآیند را مختل کند.

"جفری هولت" (Jeffrey Holt)، پژوهشگر ارشد این پروژه گفت: اگر استریوسیلین جهش یابد، این تماس برقرار نمی‌شود و تحریک سلول‌های مویی به درستی صورت نمی‌گیرد. نکته مهم این است که سلول‌های مویی همچنان کاربردی هستند؛ بنابراین می‌توانند پذیرای ژن‌درمانی باشند. ما باور داریم که این یک فرصت بزرگ را برای درمان افراد مبتلا به کم‌شنوایی، از نوزادان گرفته تا بزرگسالان فراهم می‌کند.

دانشمندان برای هدف قرار دادن این جهش، یک نسخه سالم از ژن STRC را در یک "ویروس مرتبط با آدنو" (AAV) قرار دادند که برای جستجوی سلول‌های مویی طراحی شده بود. سپس این ژن‌درمانی روی موش‌های مبتلا به کم‌شنوایی مرتبط با STRC انجام شد. دانشمندان چند هفته پس از درمان، گوش موش را زیر میکروسکوپ بررسی کردند و دریافتند که تا ۶۴ درصد از سلول‌های مویی آنها منظم‌تر شده است.

بازگشت شنوایی از دست رفته با کمک یک روش جدید ژن‌درمانی

دانشمندان در مرحله بعد، با آزمایش شنوایی موش‌ها مشابه آزمایش‌هایی که برای نوزادان استفاده می‌شوند و همچنین بررسی واکنش‌های مغز آنها نسبت به صداهای گوناگون، نحوه تأثیر درمان بر شنوایی آنها را ارزیابی کردند. موش‌ها تحت درمان، امتیاز بسیار بالاتری گرفتند و حساسیت به صداهای آهسته و توانایی تمایز بین فرکانس‌ها را نشان دادند. در برخی موارد، موش‌ها دوباره توانستند شنوایی در سطح معمولی را داشته باشند.

دانشمندان با به دست آوردن این نتایج امیدوارکننده در موش‌ها، تصمیم گرفتند این روش را روی سلول‌های انسانی در آزمایشگاه بررسی کنند که از بیماران مبتلا به کم‌شنوایی مرتبط با STRC گرفته شده‌اند. اگر این کار موثر باشد، آزمایش‌های انسانی نیز ممکن است انجام شوند. این پژوهش ممکن است پیامدهای گسترده‌تری را برای سایر انواع ژن‌درمانی نیز داشته باشد.

هولت ادامه داد: چالشی که ما با آن رو به رو بودیم، این بود که ژن استریوسیلین آنقدر بزرگ است که نمی‌تواند در مسیر ژن‌درمانی قرار بگیرد.

بنابراین دانشمندان، ژن را به دو نیم تقسیم کردند و هر قسمت را در دو نوع جداگانه از ویروس مرتبط با آدنو قرار دادند. آنها توالی‌هایی را به هر دو نیمه اضافه کردند تا اطمینان حاصل کنند که همه آنها به یک محل می‌رسند و هنگامی که آنجا یکدیگر را پیدا کنند، دوباره مانند یک پازل کامل می‌شوند. به گفته دانشمندان، موفقیت روش آنها در این پژوهش نشان می‌دهد که می‌توان آن را برای سایر انواع ژن‌درمانی نیز به کار برد.

