



نتایج امیدبخش ژن‌درمانی برای ناشنوایی مادرزادی

پژوهش‌های بسیاری برای درمان ناشنوایی مادرزادی انجام شده‌اند و برخی از آنها با نتایج مثبتی همراه بوده‌اند. این گزارش به بررسی جدیدترین نتایج پژوهش‌های ژن‌درمانی پرداخته است.

پژوهش‌های بسیاری برای درمان ناشنوایی مادرزادی انجام شده‌اند و برخی از آنها با نتایج مثبتی همراه بوده‌اند. این گزارش به بررسی جدیدترین نتایج پژوهش‌های ژن‌درمانی پرداخته است.

به گزارش ایسنا، تقریباً ۴۳۰ میلیون نفر با کم‌شنوایی ناتوان‌کننده زندگی می‌کنند و ۲۶ میلیون نفر به کم‌شنوایی مادرزادی مبتلا هستند. ۶۰ درصد این موارد به عوامل ژنتیکی نسبت داده می‌شوند.

به نقل از فوربس، با توجه به تعداد زیاد افراد مبتلا به این نوع کم‌شنوایی، موفقیتی که دو ماه پیش در درمان یک نوزاد با ژن‌درمانی گزارش شد، توجه را به این درمان امیدوارکننده برای ناشنوایی ارثی جلب کرد. این روش جدید برای افرادی امیدوارکننده است که نتایج مثبتی را از مداخلات سنتی دریافت نکرده‌اند. شواهد قانع‌کننده‌ای وجود دارند که نشان می‌دهند می‌توان شنوایی هر دو گوش را با موفقیت به کمک ژن‌درمانی احیا کرد.

ژن‌درمانی دو گوش

ژن‌درمانی دو گوش مبتنی بر «ویروس مرتبط با آدنو» (AAV)، یک روش پیشرفته برای درمان جهش‌های ژنتیکی است که به کاهش شنوایی منجر می‌شود. این درمان از یک ناقل ویروسی برای رساندن ژن سالم به طور مستقیم به سلول‌های مویی داخل حلزون گوش استفاده می‌کند. هدف از این درمان، تحریک تولید پروتئین‌های ضروری مانند «اتوفرلین» (Otoferlin) است که برای عملکرد طبیعی شنوایی ضروری به شمار می‌رود.

آزمایش‌های اولیه درمان در یک گوش، نتایج امیدوارکننده‌ای را نشان دادند و انگیزه‌ای برای تمرکز کنونی بر درمان هر دو گوش شدند. این روش به بهبود شنوایی هر دو گوش کمک می‌کند و درک کلی را درباره شنوایی و تشخیص گفتار افزایش می‌دهد. این یک کار قابل توجه است زیرا روش‌های مشابهی را برای هر دو گوش به کار می‌برد که آزمایش دو ماه پیش موسوم به «CHORD» نیز بخشی از آن بود. هدف از این درمان، دستیابی به بازیابی کامل‌تر و متعادل‌تر شنوایی با هدف قرار دادن هر دو گوش به طور هم‌زمان است. اثربخشی این درمان به طور کامل در کودکان مبتلا به نوعی ناشنوایی ارثی ناشی از جهش در ژن اتوفرلین آزمایش شده است که «ناشنوایی اتوزومال مغلوب» (Autosomal Recessive Deafness) نام دارد.

یکی از امیدوارکننده‌ترین نتایج به دست آمده، بهبود شنوایی در پنج کودک بیمار است که سال گذشته گزارش شد. همه بیماران در ابتدا آستانه «پاسخ شنوایی ساقه مغز» (ABR) را به طور میانگین بیش از ۹۵ دسی‌بل در هر دو گوش نشان دادند. پس از درمان، بهبود قابل توجهی ثبت شد.

پیامدهای درمان برای آینده

موفقیت ژن‌درمانی دو گوش مبتنی بر ویروس مرتبط با آدنو در آزمایش‌های اولیه، یک نگاه اجمالی امیدوارکننده را به آینده درمان ناشنوایی ارثی ارائه می‌دهد. این درمان می‌تواند جایگزین کاشت حلزون در افراد مبتلا به جهش ژن اتوفرلین باشد. هدف از این روش درمانی، رسیدگی به علت ریشه‌ای ژنتیکی و بازیابی شنوایی فیزیولوژیکی است که به طور قابل توجهی کیفیت زندگی افراد مبتلا را بهبود می‌بخشد.

نتایج آزمایش‌ها امیدوارکننده به نظر می‌رسند اما باید توجه داشت که این حوزه هنوز در مراحل اولیه پیشرفت خود است. پیگیری بلندمدت برای تایید اثربخشی درمان و نظارت بر عوارض جانبی احتمالی مورد نیاز است. علاوه بر این، باید به چالش‌هایی مانند هزینه‌های بالای درمان، ملاحظات اخلاقی و موانع نظارتی توجه شود تا این درمان را به طور گسترده در دسترس قرار بگیرد. همان‌طور که پژوهش‌ها ادامه می‌یابند و داده‌های بیشتری در دسترس قرار می‌گیرند، آینده ژن‌درمانی روشن‌تر به نظر می‌رسد و تغییرات بیشتری را در نحوه برخورد با اختلالات ژنتیکی و درمان آنها نوید می‌دهد.