



تأییدیه FDA برای نخستین ویرایشگر ژنی جهت درمان کلسترول

شرکت یول تک تراپیوتیکس موفق به دریافت مجوز آزمایش بالینی از سازمان غذا و داروی آمریکا (FDA) برای درمان نوآورانه بیماری هیپرکلسترولمی شد.

شرکت یول تک تراپیوتیکس موفق به دریافت مجوز آزمایش بالینی از سازمان غذا و داروی آمریکا (FDA) برای درمان نوآورانه بیماری هیپرکلسترولمی شد. به گزارش ایسنا، شرکت زیست فناوری بالینی یول تک تراپیوتیکس (YolTech Therapeutics)، فعال در حوزه درمان های ویرایش ژنی درون بدنی، اعلام کرد که سازمان غذا و داروی آمریکا (FDA) مجوز آغاز مطالعه بالینی (IND) برای نخستین درمان ویرایشگر پایه ژنی با نام YOLT-101 را صادر کرده است. این درمان آزمایشی برای بیماران مبتلا به هیپرکلسترولمی خانوادگی هتروزایگوت (HeFH) طراحی شده است.

به گفته دکتر «یوکسوان وو» (Yuxuan Wu)، هم بنیان گذار و مدیرعامل یول تک، تأییدیه FDA نقطه عطفی برای یول تک به شمار می رود. ویرایش ژن درون بدنی افق تازه ای در پزشکی می گشاید که راه حلی یک بار مصرف و بادوام برای بیماری های مزمن و ژنتیکی ارائه می دهد. ما متعهد به توسعه درمان هایی هستیم که زندگی بیماران مبتلا به بیماری های ژنتیکی و قلبی عروقی را متحول می کنند.

YOLT-101 یک درمان تجربی مبتنی بر ویرایشگر پایه ژنی درون بدنی است که با هدف کاهش دائمی و مؤثر سطح کلسترول LDL در خون طراحی شده است. این درمان بر فناوری اختصاصی شرکت یول تک با نام YoIBE استوار است؛ نوعی ویرایشگر آدنین (hpABE5) که از پروتئین nCas و یک دی آمیناز نوین مشتق شده از باکتری Hafnia paralvei ساخته شده است. برای انتقال مؤثر این ویرایشگر ژنی به سلول ها، از سامانه نوآورانه نانوذرات لیپیدی (LNP) شرکت یول تک بهره گرفته شده است. برخلاف سامانه های سنتی CRISPR/Cas9 که به بریدگی های دورشته ای در DNA متکی اند، hpABE5 بدون ایجاد چنین بریدگی هایی، امکان تبدیل دقیق جفت باز A•T به G•C را فراهم می آورد؛ مزیتی که ریسک بروز ناهنجاری های کروموزومی و اثرات خارج از هدف را به طور چشمگیری کاهش می دهد.

داده های منتشرشده از کارآزمایی در حال اجرای این درمان توسط پژوهشگران مستقل، نشان از ایمنی مناسب و کاهش چشمگیر سطح LDL-C در بیماران دارد. هیپرکلسترولمی خانوادگی (FH) نوعی بیماری ژنتیکی است که به دلیل جهش در ژن های دخیل در متابولیسم کلسترول مانند PCSK9 و LDLR، APOB رخ می دهد. افراد مبتلا به این بیماری، سطح کلسترول بد (LDL-C) بسیار بالایی دارند و در معرض خطر جدی بیماری های قلبی عروقی زودرس قرار می گیرند.

بر اساس آمار جهانی، از هر ۲۰۰ تا ۲۵۰ نفر یک نفر به این بیماری مبتلاست که معادل حدود ۳۴ میلیون نفر در سراسر جهان است. درمان های رایج همچون رژیم غذایی، داروهای استاتین، ازتیمایب، مهارکننده های PCSK9، آفرز لیپوپروتئین و حتی پیوند کبد، اغلب پاسخ دهی محدود، عوارض بالا یا مشکلات پذیرش از سوی بیمار دارند. این وضعیت، نیاز به درمان هایی بنیادی، پایدار و کم هزینه را بیش از پیش برجسته کرده است.

یول تک تراپیوتیکس شرکتی پیشرو در زمینه توسعه درمان های ویرایش ژنی درون بدنی است. این شرکت با تکیه بر فناوری های نوآورانه در زمینه ویرایش ژن و بهره گیری از سامانه پیشرفته انتقال نانوذرات لیپیدی (LNP)، بستری منعطف برای مقابله با بیماری های جدی و پیچیده فراهم کرده است. برنامه اصلی این شرکت در زمینه درمان آمیلوئیدوز خانوادگی ATTR نخستین درمان ویرایش ژنی درون بدنی مبتنی بر نانوذرات در کشور چین به شمار می رود که وارد فاز بالینی شده است. به دنبال نتایج امیدبخش اولیه، یول تک اکنون تمرکز خود را بر توسعه درمان هایی برای FH و نوع اول هیپرکسالوری اولیه (PH1) نیز معطوف کرده است.

در راستای اهداف بلندپروازانه خود، یول تک همچنین در حال گسترش زیرساخت های درون شرکتی برای تولید داخلی با بالاترین استانداردهای کیفیت و مقیاس پذیری است. این رویکرد یکپارچه، آن ها را در مسیر تبدیل به یکی از پیشگامان جهانی در درمان های ویرایش ژنی قرار می دهد.

به نقل از ستاد نانو، با این پیشرفت، افق تازه ای برای میلیون ها فرد مبتلا به بیماری های ژنتیکی قلبی در سراسر جهان، به ویژه در کشورهایی که به درمان های پایدار و در دسترس نیازمندند، گشوده می شود. تأییدیه FDA برای YOLT-101 نه تنها یک موفقیت چشمگیر برای یول تک است، بلکه گامی بزرگ در مسیر تحقق درمان های نسل آینده به شمار می رود.