



ویرایش ژن، پایانی برای مصرف قرص‌های کلسترول

یک روش جدید مبتنی بر ویرایش ژن کریسپر که کلسترول «بد» را کاهش می‌دهد، برای ورود به فاز اول آزمایش انسانی تایید شده است.

یک روش جدید مبتنی بر ویرایش ژن کریسپر که کلسترول «بد» را کاهش می‌دهد، برای ورود به فاز اول آزمایش انسانی تایید شده است. در صورت موفقیت، این روش می‌تواند اولین روش خاموش کردن ژنتیکی تاییدشده در بازار باشد که جایگزین نیاز به داروهای طولانی مدت شده و خطر بیماری‌های قلبی عروقی را کاهش می‌دهد.

به گزارش ایسنا، امیدهای زیادی به درمان STX-1150 شرکت زیست فناوری آمریکایی Scribe Therapeutics وجود دارد که به صورت اپی ژنتیکی ژن PCSK9 را در کبد خاموش می‌کند تا کلسترول لیپوپروتئین با چگالی کم (LDL-C) را کاهش دهد. البته این اولین مورد از این نوع نیست.

به نقل از نیواطلس، درمان STX-1150، یکی از عوامل کلیدی بیماری قلبی عروقی آترواسکلروتیک (ASCVD) را هدف قرار می‌دهد. این دارو به صورت اپی ژنتیکی ژن PCSK9 را خاموش می‌کند تا LDL-C را بدون ایجاد هیچ تغییر دائمی در دی ان ای کاهش دهد.

دکتر بنجامین اوکس، مدیرعامل اسکرایب، می‌گوید: ما STX-1150 را طراحی کردیم تا از طریق خاموش سازی اپی ژنتیکی قدرتمند، بر بسیاری از محدودیت‌های درمان‌های امروزی کاهش دهنده چربی خون غلبه کنیم و به طور معناداری نحوه مدیریت خطر بیماری‌های قلبی عروقی را برای میلیون‌ها بیمار تغییر دهیم.

به جای برش یا تغییر دائمی دی ان ای، روش STX-1150 اساساً اصلاحات و متیلاسیون دی ان ای را در جایگاه PCSK9 در سلول‌های کبدی ایجاد می‌کند که بیان ژن را به گونه‌ای خاموش می‌کند که در صورت نیاز می‌توان آن را معکوس کرد.

در حوزه علوم پزشکی، کریسپر هنوز در مراحل ابتدایی خود است. پیشرفت‌های بزرگی در سال ۲۰۱۹ مشاهده شده و سال گذشته برای اولین بار برای درمان موفقیت‌آمیز نوزادی با یک بیماری ژنتیکی لاعلاج مورد استفاده قرار گرفته است. در سال ۲۰۲۴، سازمان غذا و داروی ایالات متحده (FDA) یک درمان پیشگامانه CRISPR/Cas9 را برای بیماری کم‌خونی داسی شکل تأیید کرد که نشان می‌دهد این فناوری چقدر سریع در حال پیشرفت است و اگرچه این روش پزشکی دقیق توسط بسیاری از افراد به عنوان آینده درمان بیماری دیده می‌شود، اما هنوز با چالش‌های نظارتی و اخلاقی زیادی روبرو است.

همچنین با موانع دسترسی روبرو است. درمان بیماری کم‌خونی داسی شکل حدود ۲.۲ میلیون دلار آمریکا برای هر بیمار هزینه دارد که برای اکثر افراد قابل دسترس نیست. یک درمان موفق برای بیماری قلبی عروقی، هزینه داروهای مداوم برای مدیریت شرایطی مانند LDL-C بالا را از بین می‌برد، اما این سؤال باقی می‌ماند که آیا ۷۰ میلیون آمریکایی که تخمین زده می‌شود کلسترول مزمن بالایی دارند، پس از تأیید به این درمان یکباره دسترسی خواهند داشت یا خیر.

با این وجود، پنی سیلین وقتی برای اولین بار در سال ۱۹۴۰ به بازار آمد، ارزان نبود و هزینه‌ای معادل حدود ۴۰۰ دلار برای هر دوز داشت و یک درمان تایید شده با کریسپر برای LDL-C این پتانسیل را دارد که اولین مورد از بسیاری از درمان‌های این‌چنینی باشد که دسترسی به آن تغییر پیدا می‌کند.

اوکس می‌گوید: ورود به عرصه بالینی با STX-1150 لحظه‌ای تعیین‌کننده برای اسکرایب و حوزه گسترده‌تر پزشکی ژنتیک است. اسکرایب در حال مهندسی داروهای مبتنی بر کریسپر با قدرت، ویژگی و دوام بالا است که می‌تواند استاندارد مراقبت فعلی را ارتقاء دهد.