



درمان موفقیت آمیز بیماری کبدی در موش با اصلاح ژن

دانش پژوهان موفق شدند برای نخستین بار یک بیماری ژنتیکی کبدی در یک موش بالغ را با استفاده از ژنوم اصلاح شده، درمان کنند.

دانش پژوهان موفق شدند برای نخستین بار یک بیماری ژنتیکی کبدی در یک موش بالغ را با استفاده از ژنوم اصلاح شده، درمان کنند.

به گزارش خبرگزاری مهر، این شیوه که "کریسپر" خوانده می شود می تواند تغییرات بسیار ریزی در پایگاه داده بزرگ مولکول DNA بدهد؛ امری که دانشمندان آن را "دقت دقیق" توصیف می کنند.

کریسپر برای اصلاح یک حرف از الفبای ژنتیکی موشی استفاده شده است که ژن مرتبط با سوخت و ساز کبدی او جهش یافته بود.

دانشمندان مدعی هستند جهش مشابهی در همین ژن موجب بروز بیماری کبدی ارثی در انسان می شود. محققان امیدوارند کارآزمایی های بالینی این شیوه بر روی انسان طی چند سال آینده انجام شود.

آنها معتقدند تغییرات دقیق ایجاد شده بر روی DNA می تواند به دانشمندان کمک کند اختلالات ژنتیکی مانند کم خونی داسی شکل، سندروم داون و بیماری هانتینگتون را درمان کنند.

این شیوه جدید، برای هدف قرار دادن بخش های خاصی از 23 جفت از کروموزوم های انسانی، از آنزیم های برش خورده استفاده می کند، بدون آنکه هیچ جهش یا نقص ناخواسته ای ایجاد کند.

این آنزیم ها در سال 1987 کشف شدند و در ابتدا DNA های بی ارزش تلقی می شدند اما پس از مدتی به عنوان یک عامل دفاعی استفاده شده توسط باکتری ها علیه ویروس های مهاجم شناسایی شدند.

اما قابلیت اصلی این آنزیم ها دو سال پیش شناسایی شد زمانی که دانشمندان کشف کردند می توان آن را با آنزیم DNA برش خورده موسوم به Cas9 ترکیب و از آن برای اصلاح ژنوم انسان استفاده کرد.

برای این مطالعه دانشمندان دانشگاه فناوری ماساچوست (MIT) از فناوری کریسپر استفاده کردند تا در ژن کبدی موسوم به LAH جفت DNA جهش یافته را پیدا و اصلاح کنند.

این جهش می تواند به تولید اسید آمینه مهلکی به نام تیروسین منجر شود. این جهش در یک نفر از هر 100 هزار نفر روی می دهد و باید با دارو و رژیم غذایی کم پروتئین درمان شود.

محققان MIT توانسته اند این بیماری نادر را در موش و با تغییر حدود یک سوم سلول های کبدی آنها با استفاده از سه رشته RNA هدایت شده درمان کنند.

رشته های RNA برای یافتن جفت جهش یافته موسوم به FAH مانند مولکول های راهنما عمل کردند. آنزیم Cas9 که به RNA متصل شده بود توانست نقص و جهش را ترمیم کند.

با استفاده از این راهبرد، ژن اصلاح شده به هر یک از 250 سلول هیپاتوسیت که در کبد تولید می شود تزریق شد. پس از 30 روز این سلول های سالم، تکثیر را آغاز کرده و جایگزین سلول های کبدی بیمار شدند.

دانشمندان معتقدند این روش آنقدر دقیق است که می توان آن را در ژن درمانی و برای جایگزینی ژنهای معیوب با این سلول های سالم مثلا در درمان HIV و بیماری هایی مانند سرطان استفاده کرد.

در یک کاربرد بحث بر انگیز، این شیوه همچنین می تواند نقص های ژنتیکی را در جنین های IVF انسانی اصلاح کرده و پیش از تولد نوزاد اختلالات ژنتیکی او را درمان کند.

پیش از این ژن درمانی بر استفاده از ویروس هایی که DNA به آنها تزریق شده و به طور تصادفی به ژنوم انسانی وارد می شدند تکیه داشت؛ فرایندی که از دقت کافی برخوردار نبوده و خطرناک بود.