

Νεότερα δεδομένα στη Γονιδιακή Θεραπεία

Ουάσιγκτον: Το Ίδρυμα AHEPA Cooley καλωσορίζει με δήλωση του προέδρου Dr. John Grossomanides την πρώτη στις Ηνωμένες Πολιτείες κλινική δοκιμή γονιδιακής θεραπείας της β' Θαλασσαιμίας σε συμμετέχοντες ασθενείς. Η δοκιμή εγκρίθηκε από το FDA (αμερικανικό ΕΟΦ) το καλοκαίρι του 2012 και ξεκίνησε την ανεύρεση εθελοντών για τις κλινικές δοκιμές αμέσως μετά.

Η πρώτη φάση, με τον επίσημο τίτλο "β-Thalassemia Major With Autologous CD34+ Hematopoietic Progenitor Cells Transduced With TNS9.3.55 a Lentiviral Vector Encoding the Normal Human β-Globin Gene," διενεργείται στο ογκολογικό κέντρο Memorial Sloan-Kettering στη Νέα Υόρκη. Ο Dr. Michel Sadelain, διευθυντής στο κέντρο γονιδιακής τεχνολογίας στο Memorial Sloan-Kettering είναι και αυτός μέλος της ερευνητικής ομάδας. Τις κλινικές δοκιμές ηγούνται σε συνεργασία με τον Dr. Michel Sadelain ο Dr. Farid Boulad, ιατρικός διευθυντής της παιδιατρικής κλινικής καθώς και η Dr. Isabelle Rivière, διευθύντρια του κέντρου γονιδιακής θεραπείας και τεχνολογίας του νοσοκομείου Memorial Sloan-Kettering.

Ο πρόεδρος του Ίδρυματος AHEPA, του οποίου ο γιός πάσχει από Θαλασσαιμία ανέφερε ότι είναι ιδιαίτερα ευχαριστημένοι για το σημαντικό βήμα προόδου που έχει συντελεστεί στα πλαίσια της κλινικής δοκιμής.

Σύμφωνα με το Ίδρυμα Cooley, στη δοκιμή τα αρχέγονα αιμοποιητικά κύτταρα απομακρύνονται από το περιφερικό αίμα και φιλτράρονται εκτός του αίματος του ασθενούς.

Ερευνητές θα χρησιμοποιήσουν μετά ένα όχημα/έναν μεταφορέα ώστε να εισάγουν μία λειτουργική μορφή του γονιδίου της β' σφαιρίνης στα αρχέγονα κύτταρα. Τα οχήματα/μεταφορείς είναι απενεργοποιημένοι ιοί που δεν μπορούν να αναπαραχθούν αλλά μόνο να μεταφέρουν το γενετικό τους φορτίο σε κύτταρα ξενιστές. Σύμφωνα με τον Dr. Sadelain, ένας ασθενής ξεκίνησε ήδη να λαμβάνει τη θεραπεία ενώ άλλοι δύο ολοκληρώνουν τη διαδικασία εγγραφής στη δοκιμή και θα ξεκινήσουν σύντομα τη θεραπεία.

Πρόκειται για μια διεθνή συνεργασία συμπεριλαμβανομένων πολλών ερευνητικών κέντρων στις ΗΠΑ, Ιταλία αλλά και άλλες χώρες.

Ο Dr. Sadelain δήλωσε ότι: "Παρέχουμε επιστημονικές αποδείξεις αυτής της προσέγγισης εδώ και πάνω από μία δεκαετία και ήδη από τότε επικεντρωθήκαμε στο να λύσουμε αναρίθμητες προκλήσεις σε κλινικό, βιολογικό επίπεδο αλλά και σε επίπεδο παραγωγής έτσι ώστε να θέσουμε αυτή την κλινική δοκιμή σε εφαρμογή υπό τις καλύτερες το δυνατό συνθήκες. Η έγκριση διαδικασίας παραγωγής κυττάρων καθώς και του σχεδιασμού της κλινικής δοκιμής από τον αμερικανικό FDA το 2012 αποτελεί σημαντικό σταθμό όχι μόνο για τη Θαλασσαιμία αλλά και για μελλοντικές έρευνες τόσο στη δρεπανοκυτταρική νόσο όσο και σε άλλες αιματολογικές διαταραχές.