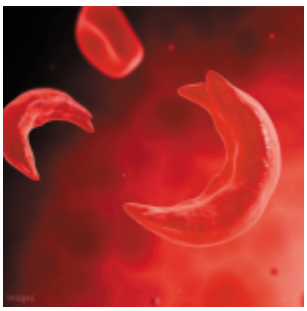

علاج جيني فعّال ضدّ مرض فقر الدّم المِنجلي

تلقّى طفل مصاب بمرض فقر الدم المنجلي علاجاً جينياً في مستشفى نيكر للأطفال بباريس لمدة تسعة أشهر، وقد تحسنت حالته بشكل ملحوظ بعد حقنه بخلايا جذعية مغيرة وراثياً. وأصبح هذا الطفل ذو 13 ربيعاً ينتج 51.5% من الخضاب الدموي السليم وتخلص بذلك من عملية نقل الدم المرهقة.

تعد هذه الحالة الأولى من نوعها التي أبانت عن فاعلية العلاج الجيني ضد هذا المرض الوراثي الخطير، الشيء الذي يبعث الأمل للمرضى المصابين به.

يذكر أنّ مرض فقر الدم المنجلي من بين الأمراض الوراثية الأكثر انتشاراً في العالم، يصيب حوالي 50 مليون مريضاً (في إفريقيا وبلدان البحر الأبيض المتوسط والهند وسكان أمريكا المنحدرون من إفريقيا). يتميز الشخص المصاب بإنتاج كريات حمراء ذات شكل منجلي تعيق الدورة الدموية، يرجع ذلك لخلل في إنتاج الخضاب الدموي، وهو بروتين مسؤول عن تثبيت الأكسجين في الكريات الحمراء. يسبب هذا المرض ألاماً حادّة وأزمات الانسداد الوعائي والسكتة الدماغية وفقر دم حاد. ويُعتمد حالياً لعلاجه على عملية نقل الدم بشكل شهري أو عن طريق زرع النخاع العظمي.

المصدر: معهد الأمراض الوراثية