

المعالجة بالجينات

محمد نورين بن أحمد الأهدل **

2020-07-05

مقدمة

تُعنى المعالجة بالجينات بنقل جين (مُورَث) فَعَال ونشط يؤدي الغرض الذي وُجد من أجله إلى خلايا بشرية هيكلية عادية يمكنها أن تنتقل أو تُنقل إلى خلايا العضو المراد لكي تعمل ما كان ينبغي أن يعملها الجين الأصلي المُعْطَل أو الغائب في ذلك العضو أو لتحفيز مناعة ضد عضو مصاب بتكاثر الخلايا السرطانية. ويمكن المعالجة بالجينات لخلايا الجسم العادية أو الخلايا التكاثرية مثل الخلايا المُنتجة للبويضات أو الحيوانات المنوية، وهذا الأسلوب لا يزال يعتبر تجريبياً، ولكنه واعدٌ في المستقبل المنظور.

طريقة نقل الجينات

بدأت الأبحاث الأساسية في هذا الموضوع منذ حوالي عشرين عاماً، وبدأت ببحث كيفية نقل الجينات الادمية السليمة لكي تحل محل الجينات العلية، وأخيراً وصلت هذه الطريقة إلى العيادات وأسرّة المرضى بأساليب منطقية ومقبولة علمياً (1). ولعلّ من أهم أسباب هذا التّطوُّر هو التّعرّف الجيّد على وسائل نقل الجينات إلى داخل الخلايا، ونعني بذلك الناقل الفيروسي وخاصّةً الفيروسات المرتبطة بالفيروسات الغُدديّة (adeno-associated viruses) والتي أصبحت العمود الفقري لهذه التقنيات الخاصة بالمعالجة الجينية (2). وبعد سنوات من المحاولات التجريبية المبدئية في إدارة الاضطرابات الناجمة عن خلل في جين واحد، دخلت هذه المعالجة حديثاً مرحلة التجارب السريرية، وأظهرت بعض هذه المحاولات نجاحات مبدئية استثنائية في تغيير المسارات السيئة للكثير من أمراض الأطفال المدمرة.

الدراسات الحديثة

من الدراسات الحديثة المنشورة والأكثر لفتاً للنظر تلك الدراسة التي وصفت إدخال جين معين (SMN1) إلى خلايا مرضى ضمور العضلات الشوكي من النوع الأول (spinal muscular atrophy type 1)، وهذا الإضطراب المرضي يدقّر الخلايا العصبية الحركية لدى حديثي الولادة وقد يؤدي إلى الوفاة، أو إلى الحاجة المُلحة إلى تنفّيس آلي (وضع أجهزة التنفس) قبل عمر العامين، وقد أظهرت أولى التجارب على الإنسان في مستشفى الأطفال الوطني بمدينة كولومباس بولاية أوهايو في الولايات المتحدة الأميركية تحسناً ملحوظاً حيث إن من تمّ علاجه بإدخال الفيروس المُعدّل AAV9 والذي يحتوي على جين SMN إلى المريض عن طريق الكُن لم يُتوفّوا ولم يحتج أيُّ منهم إلى أي من أنواع التنفس الآلي حتى شهرهم العشرين مقارنةً بمن لم يُعالجوا بهذا الأسلوب. وسوف يُمكن هذا الأسلوب من التغلّب على هذا المرض القاتل على مستوى العالم (3). وحالياً، تُجرى دراسات سريرية بنفس هذا الأسلوب على أنواع أخرى من أمراض ضمور العضلات مثل مرض دوشين ومرض شارلوت ماري وأمراض أخرى من مجموعة الأمراض العضلية العصبية. هذا بالإضافة إلى أمراض تتعلّق بالجهاز العصبي المركزي مثل متلازمة سان فيليبّو ومرض باتن.

والتركيز على الأمراض العصبية العضلية وخاصة عند الأطفال نابع من كون أنها ليست لها أي طريقة أخرى للعلاج يمكن استخدامها، وأنّ هذه الفيروسات الحاملة لهذه الجينات العلاجية تستطيع الدخول بسهولة في الخلايا العضلية الهيكلية وأنّه من الممكن أخذ خزعات من العضلات مباشرةً لتقييم دخول هذه الفيروسات المعدّلة إلى الخلايا العضلية، وأنّ أوزان أجسام الأطفال الصغيرة

تساعد على تحضير كميات بسيطة من هذه الفيروسات المعدلة الناقلة للجين المطلوب حيث أن كميات هذه الفيروسات العلاجية (وهي مُعدّله وراثياً) تتناسب طردياً مع وزن الجسم (4).

الاستنتاجات

إن نتائج هذه الدراسات على مُداواة أمراض مختلفة عن طريق العلاج الجيني تُشجّع الأوساط العلمية الطبية على تجربتها على أمراض أخرى مُستعصية لا علاج لها، خاصة وأنها أثبتت مأمونيّتها وكفاءتها. ويظهر أن هناك عدة أدوية استقصائية لأمراض أخرى ستطفو على السطح في الأعوام القليلة القادمة ولا تحتاج إلّا إلى معرفة للنواحي الأخلاقية والتنظيمية والصبر على الإبحار فيها. وليس هناك أدلّ على ذلك من كثرة الشركات الدوائية التي تُطوّر حالياً المعالجة بالجينات، إمّا مباشرة أو عن طريق الاتفاقيات المبرمة مع مراكز الأبحاث، ومن أحدث المقالات التي تراجع هذا الموضوع بسلسلة هي مقالة متوفرة في مجلة نيو إنجلاند الطبية ولكن باللغة الإنجليزية (5).

**** أ.د. محمد نورين بن أحمد الأهدل**

أستاذ وعالم أبحاث رئيس، علم الأحياء الدقيقة والمناعة

استشاري علوم المناعة

مستشفى الملك فيصل التخصصي ومركز الأبحاث بالرياض

المملكة العربية السعودية

البريد الإلكتروني للكاتب: profahdal@gmail.com