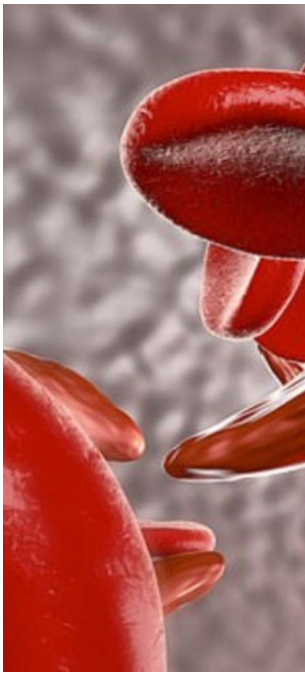
"كريسبر"... حديث عن علاج جيني جديد لمرض فقر الدم المنجلي



أفادت لجنة طبية مستقلة، الثلاثاء الماضي، أن "العلاج الجيني الثوري المقترح لمرض فقر الدم المنجلي آمن بدرجة كافية".

وهناك موافقة محتملة لهيئة الغذاء والدواء بحلول الثامن من كانون الأول/ديسمبر المقبل، بحسب صحيفة "نيويورك تايمز" الأميركية.

بلا علاج عالمي ناجح

تساعد اللجنة المكونة من مجموعة من الخبراء، إدارة الغذاء والدواء في التفكير في كيفية تقييم علاج يسمى "cel-exa"، الذي يمكن أن يعالج الأشخاص من فقر الدم المنجلي، وهو مرض مؤلم ومميت ظل لعقود بلا علاج عالمي ناجح.

ولم يكن هناك تصويت أو قرار بشأن هذا العلاج، لكن من المرجح أن المناقشة تقرب الولايات المتحدة

خطوة أخرى من الموافقة على علاج رائد، يستخدم تعديل الجينات المعروفة باسم "CRISPR"، بحسب شبكة "سي إن إن" الأميركية.

وكانت إدارة الغذاء والدواء الأميركية قد وجدت سابقا أن العلاج الجيني الذي تم تطويره بشكل مشترك من قبل شركة "فيرتكس" للأدوية، التي تتخذ من بوسطن مقرا لها، وشركة "CRISPR Therapeutics" السويسرية، كان فعالا لمرضى فقر الدم المنجلي.

وتؤثر هذه الحالة على شكل خلايا كريات الدم الحمراء، التي تحمل الأوكسجين إلى كل أجزاء الجسم.

وتكون خلايا الدم الحمراء الطبيعة "مستديرة ومرنة"، مما يسهل حركتها في الأوعية الدموية، لكن بالنسبة للمصابين بهذا المرض الوراثي، فإن كريات الدم الحمراء لديهم تنتج على شكل منجل أو هلال، ومن هنا جاءت التسمية بفقر الدم المنجلي.

وتصبح هذه الخلايا المنجلية صلبة ولزجة أيضا، مما قد يبطئ تدفق الدم أو يمنعه داخل الأوعية الدموية، وهذا ما ينتج عنه الآلام المبرحة.

وقالت إدارة الغذاء والدواء الأميركية إن: "علاج الخلايا فقر الدم المنجلي هو حاجة طبية لم تتم تلبيتها".

وفي نيسان/ أبريل الماضي، ذكرت صحيفة "واشنطن بوست" الأميركية، أن "العلاج الثوري الذي يسمى "كريسبر" يمنح مرضى فقر الدم المنجلي ما هو أشبه بـ "السجادة الحمراء في العلم"، وذلك بعد عقود من الإهمال ونقص التمويل".

ملايين الدولارات لكل مريض

ومن المتوقع أن تكلف هذه العلاجات الجديدة المحتملة، ملايين الدولارات لكل مريض، على الرغم من أن شركة "فيرتكس" لم تعلن بعد عن التكلفة التي ستتقاضاها.

لكن الرعاية مدى الحياة للمصابين بهذا المرض باهظة للغاية، حيث تكلف نظام الرعاية الصحية في الولايات المتحدة ما يقدر بنحو 3 مليارات دولار سنويا، وفقا لـ"نيويورك تايمز".

وقال الدكتور جون تيسدال، وهو مسؤول العلاجات الخلوية والجزيئية بالمعهد الوطني للقلب والرئة والدم وعضو اللجنة الاستشارية: "لقد وصلنا أخيرا إلى نقطة يمكننا من خلالها تصور علاجات متاحة على نطاق واسع لمرض فقر الدم المنجلي".