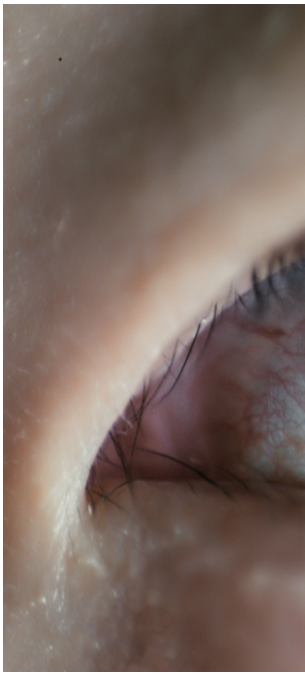
أخيراً... اكتشاف علاج جيني لفاقدي البصر يحسن الرؤية 10 آلاف ضعف



كشفت دراسة أميركية عن علاج جيني أظهر تحسّناً هائلاً في الرؤية لدى المصابين بحالة وراثية نادرة تُسبّب فقدان البصر منذ الطفولة.

وأوضح الباحثون في جامعة بنسلفانيا أنّ العلاج يحسّن الرؤية بمقدار 100 ضعف لدى بعض المرضى، في حين حقّق البعض الآخر تحسّناً وصل إلى 10 آلاف ضعف بعد تلقّي أعلى جرعة منه، وفق النتائج المنشورة، الخميس، في دورية «ذا لانسيت». وشارك في التجربة 15 مريضاً يعانون ضمور الشبكية الوراثي، الذي يؤدّي إلى فقدان شديد للرؤية منذ الطفولة المبكرة.

وينتج هذا المرض عن خلل في جين يُسمّى "GUCY2D"؛ وهو جين مهم لإنتاج البروتينات الضرورية لوظيفة الخلايا الحساسة للضوء في الشبكية. ويعاني المرضى ضعفاً شديداً في الرؤية لا يمكن تصحيحه بالنظارات، كما يواجهون صعوبة في الرؤية حتى في الإضاءة الجيّدة. وتُعدّ هذه الحالة سبباً رئيسياً للعمى الوراثي لدى الأطفال، وتؤثر في نحو 100 ألف شخص حول العالم.

وعانى جميع المشاركين في التجربة ضعفاً شديداً في الرؤية؛ إذ كانت قدرتهم على الرؤية لا تتجاوز 20/80 أو أسوأ، ما يعني أنّ المصاب يجب أن يكون على بُعد 20 قدماً لرؤية ما يمكن لشخص طبيعي رؤيته بوضوح من مسافة 80 قدماً.

وخلال الدراسة، اختُبِرت 3 جرعات مختلفة من العلاج الجيني المُسمّى ATSN-101 الذي حُقن جراحياً تحت الشبكية. وتلقّت مجموعات من 3 بالغين جرعات منخفضة ومتوسّطة وعالية، وجرت تقييمات للتأكد من سلامة العلاج قبل الانتقال إلى الجرعة التالية.

وفي المرحلة الثانية من الدراسة، أُعطيت الجرعة العالية لكل من البالغين والأطفال بعد مراجعة سلامة الجرعات السابقة.

ولوحظت التحسينات بسرعة، خلال الشهر الأول من تلقّي العلاج، واستمرّت لـ12 شهراً على الأقل.

وأظهرت الاختبارات، التي شملت القدرة على التنقّل في مستويات إضاءة مختلفة، أنّ 3 من بين 6 مرضى تلقّوا أعلى جرعة حقّقوا أعلى النتائج الممكنة.

وأفاد الباحثون بأنّ:"اثنين من المرضى التسعة الذين تلقّوا الجرعة العالية شهدا تحسّناً بمقدار 10 آلاف ضعف في الرؤية. وأظهرت النتائج أنّ العلاج الجيني للعمى بعد سنوات حقّق استجابة ملحوظة للمستقبلات الضوئية".

وركزت الدراسة أيضاً على تقويم أمان العلاج وجرعاته، وسجّلت بعض الآثار الجانبية المرتبطة بالإجراءات الجراحية، مثل نزيف تحت سطح العين تعافى لاحقاً، والتهابات عولجت.

وأعرب الباحثون عن رضاهم بالنتائج، مؤكدين أهمية تطوير العلاج واستهداف مراحل مبكرة من المرض لضمان أفضلها، مع استمرار التأكد من سلامة العلاج قبل تعميم استخدامه.