

خبراء يكشفون عن علاج مثير للجدل لخفض نسبة الكوليسترول



أعلن خبراء، عن علاج جيني قائم على تقنية "كريسبر" لخفض مستويات الكوليسترول "الضار" لدى الأشخاص في تجربة صغيرة، والذي يستخدم لمرة واحدة.

وعلى الرغم من أن العلاج الجديد يبدو واعداً، إلا أن الموافقة على استخدامه لدى المرضى قد تكون بعيدة المنال حالياً.

وقل العلاج الجيني، المسمى 101-VERVE، من مستويات كوليسترول البروتين الدهني منخفض الكثافة (LDL) في دم الأشخاص الذين يعانون من فرط كوليستيرول الدم العائلي (FH)، وهي حالة وراثية تزيد من مستويات LDL وخطر الإصابة بأمراض القلب، وفقاً لبيان صادر عن شركة Therapeutics Verve للتكنولوجيا الحيوية ومقرها ماساتشوستس، والتي تصنع العلاج.

ويحدث FH بسبب طفرات في الجين الرئيسي الذي يساعد على التحكم في معدل إزالة الكبد لـ LDL من الدم. وعادة ما تؤدي هذه الطفرات إلى تغيير وحدة بناء واحدة في البروتين المشفر بواسطة الجين. ويعمل الجين، المسمى PCSK9، بشكل أساسي لوقت إضافي في سياق هذا المرض، ويقوم فرط نشاطه بتكسير البروتينات الموجودة على سطح خلايا الكبد والتي من شأنها عادة إزالة LDL من مجرى الدم.

ونتيجة لذلك، ترتفع مستويات الكوليسترول بشكل كبير، لذلك يحتاج الأشخاص المصابون بالمرض إلى أدوية

خفض الكوليسترول للحفاظ على مستوىاتهم تحت السيطرة.

وتأمل Verve تغيير هذا الأمر من خلال العلاج الجديد، وفي 12 نوفمبر الماضي، أصدرت الشركة بيانات أولية من تجربتها السريرية المستمرة. ويستخدم VERVE-101 نسخة معدلة من تقنية تحرير الجينات "كريسبر"، والتي تسمح للباحثين بتغيير تسلسل الحمض النووي وبالتالي تعديل وظيفة الجينات.