كندا... علاج جيني ينقذ حياة طفل مصاب بمرض وراثي قاتل

حقق أطباء وباحثون في مستشفى للأطفال بكندا، نجاحاً يُعدّ إنجازاً نادراً، بعد أن تمكنوا باستخدام العلاج الجيني في وقف تدهور حالة طفل مصاب بمرض وراثي نادر.

تفاصيل حالة الطفل

وفي التفاصيل، تلقى الطفل، الذي جرى تعريفه باسم "مايكل"، علاجاً جينياً له في "مستشفى تسيك كيدز" للأطفال في مارس 2022، حيث كان يعاني حينها من "الشلل التشنجي (SPG50).

ويُعدّ هذا المرض اضطراباً عصبياً تنكسياً "نادراً جداً"، يسبب تأخراً في النمو، وتدهور في القدرة على الكلام، ونوبات صرع، وشلل تدريجي لجميع الأطراف، وغالباً ما يؤدي إلى الوفاة في مرحلة البلوغ.

ووفقاً للنتائج المنشورة في مجلة "نيتشر"، فإن ما يقرب من 80 طفلاً حول العالم يعانون من هذا

المرض الجيني.

ماذا فعل العلماء في حالة مايكل؟

في محاولة لإبطاء تدهور حالة مايكل، قام فريق بحثي سريري في مستشفى"سيك كيدز" بإدارة أول علاج جيني لمريض واحد، وتم تطبيق العلاج لمايكل بعد أقل من ثلاث سنوات من تشخيصه الأولي، وفقاً لتقرير في "ميديكال إكسبريس".

ما هو العلاج الجيني؟

العلاج الجيني هو طريقة لإدخال نسخة سليمة من جين إلى خلايا شخص لديه جين (أو جينات) معيبة.

وفي حالة مايكل، يُعدّ سببا "الشلل التشنجي التشنجي العائلي 50" نوعان من الطفرات المرضية في جين يُسمى AP4M1.

ونقل موقع Express Medical عن الدكتور جيم داولينج، الطبيب المعالج في قسم الأعصاب وكبير العلماء في برنامج علم الوراثة وعلم الجينوم في المستشفى قوله: "في حين أن هذه الأمراض النادرة جداً فريدة من نوعها، فإن أسلوب عملنا يوفر خارطة طريق للعلاجات الجينية التي يمكن أن تساعد العديد من بين آلاف الأطفال في كندا المصابين بأمراض وراثية نادرة".

مايكل يستجيب للعلاج

وخلال العلاج الجيني، تمكن مايكل من الوقوف على قدميه مع وضع كعبيه على الأرض. كما شهد تحسناً في بعض جوانب النمو العصبي لديه.

وقال والدا مايكل، تيري وجورجيا، لموقع Express Medical: "عندما علمنا بتشخيص مايكل بهذا المرض الرهيب، انهار عالمنا. لقد شعرنا بالضياع والتحطم كعائلة".

وأضافا: "لحسن الحظ، كان لدينا فريق رائع في المستشفى ومجتمع داعم رفع معنوياتنا وأعطانا الثقة لجمع ملايين الدولارات وإنشاء علاج، ليس فقط لمايكل، ولكن للأطفال الآخرين المصابين بهذا المرض للأجيال

القادمة".