

MÔ PHÒNG DẠNG ĐỘT BIẾN HỖ TRỢ ĐIỀU TRỊ HIV

Trong một nghiên cứu mới đầy hứa hẹn, nhóm các nhà khoa học tại Đại học California đã chỉnh sửa thành công bộ gene trên tế bào gốc nhằm mô phỏng đột biến tự nhiên loại hiếm có tác dụng kích hoạt cơ chế đề kháng của cơ thể chống lại virus HIV. Nếu c&a

Trong một nghiên cứu mới đầy hứa hẹn, nhóm các nhà khoa học tại Đại học California đã chỉnh sửa thành công bộ gene trên tế bào gốc nhằm mô phỏng đột biến tự nhiên loại hiếm có tác dụng kích hoạt cơ chế đề kháng của cơ thể chống lại virus HIV. Nếu các tế bào đột biến được cấy vào cơ thể bệnh nhân một cách an toàn, các nhà nghiên cứu tin rằng cách tiếp cận trên có thể tạo nên một phương pháp điều trị HIV hoàn toàn khả thi. Công trình nghiên cứu trên đã được công bố trên tạp chí của Viện hàn lâm khoa học quốc gia Hoa Kỳ số đăng vừa qua.

Cách đây vài tuần, 1 tin tức chấn động giới y học đã được công bố: Timothy Ray Brown, một bệnh nhân tại Berlin nhiễm HIV từ năm 2008, đã được chữa khỏi sau khi nhận được tế bào gốc từ người hiến tặng sở hữu đột biến tự nhiên với khả năng đề kháng virus HIV. Loại đột biến này được gọi là CCR532, bản chất chính là thiếu 32 cặp nucleotide trên nhiễm sắc thể quy định thụ thể chemokine C-C type 5. Người có đột biến CCR532 sở hữu khả năng tự sản sinh 1 loại thụ thể quan trọng trong hoạt động của virus HIV mang tên CCR5.

Mặc dù virus HIV chủ yếu sử dụng một loại thụ thể mang tên CD4 trong các tế bào bạch cầu để tấn công vào tế bào mục tiêu, nhưng quá trình này đòi hỏi sự góp mặt của một thụ thể khác mang tên CCR5. Và đột biến CCR532 đã tạo nên một dạng bất thường của thụ thể CCR5 khiến cho HIV không thể tấn công vào tế bào mục tiêu được. Do đó, HIV cũng không thể nào thay đổi và lưu trữ các thông tin di truyền vào bộ gene người mắc. Tuy nhiên, chỉ những cá nhân nào sở hữu bộ nhiễm sắc thể đột biến nói trên mới có thể miễn dịch với HIV.

Ở trường hợp của bệnh nhân Brown, bằng việc cấy ghép tế bào gốc đột biến CCR532, các bác sĩ đã chữa thành công HIV cho bệnh nhân này. Dù vậy, phương pháp điều trị ấn tượng này chỉ là 1 trong số nhiều lựa chọn đầy rủi ro và có chi phí rất lớn. Các bác sĩ gọi đây như ánh sáng ở cuối đường hầm.

Lấy cảm hứng từ trường hợp ấn tượng trên, nhóm các nhà khoa học dẫn đầu bởi bác sĩ Yuet Kan đến từ Đại học California đã đề xuất ý tưởng gây đột biến CCR532 bằng phương pháp nhân tạo mà không cần phải trực tiếp lấy tế bào gốc từ người hiến tặng có đột biến bẩm sinh.

Để thực hiện điều đó, các nhà nghiên cứu đã chuyển sang chỉnh sửa 1 hệ thống gene mang tên CRISPR-Cas9 dựa trên hệ thống miễn dịch được sử dụng bởi nhiều loại vi khuẩn khác nhau và tự chung đều có khả năng kháng virus. Thông tin di truyền sau khi chỉnh sửa sẽ được cắt ra và ghép vào bộ gene tế bào gốc vạn năng cảm ứng (iPSC) nhằm sao chép chính xác đột biến CCR532 trong tự nhiên.

Tiếp theo, các tế bào gốc vạn năng cảm ứng đột biến được biệt hóa thành 2 dạng tế bào miễn dịch khác nhau, và theo dự đoán của các nhà nghiên cứu, các tế bào này hoàn toàn có khả năng miễn dịch trước virus HIV trong phòng thí nghiệm.

Nếu kỹ thuật trên tiếp tục được đưa vào thử nghiệm trên lâm sàng, tế bào của bệnh nhân sẽ được sử dụng như nguồn iPSC nhằm hình thành nên một loại thuốc tự nhiên chữa HIV và "loại thuốc" này sẽ mang đặc trưng của từng người bệnh khác nhau. Trả lời phỏng vấn tờ NewScientist, bác sĩ Kan cho biết ông không có ý định biệt hóa các iPSC đã đột biến thành tế bào bạch sẽ bị nhiễm HIV, mang tên CD4+ T. Thay vào đó, ông sẽ biệt hóa chúng thành dạng tế bào chuyển tiếp có khả

năng tự biệt hóa tiếp thành bất kỳ loại tế bào máu nào.

Nếu những tế bào đột biến có thể được cấy ghép một cách an toàn vào cơ thể bệnh nhân HIV bằng cách tương tự như trường hợp của Brown, về mặt lý thuyết, đây chính là phương pháp chữa trị triệt để HIV. Tuy nhiên, điều này không có nghĩa là việc cấy ghép sẽ diễn ra một cách dễ dàng và đơn giản. Các bác sĩ cần phải thực hiện rất nhiều thử nghiệm tiền lâm sàng trước khi chính thức áp dụng trên cơ thể người bệnh.

Cho đến nay, nhóm nghiên cứu đã thực hiện một chặng đường nghiên cứu dài để cho ra đời phương pháp tiếp cận nói trên. Dù vậy, rất nhiều nghiên cứu và thử nghiệm kiểm chứng cần phải được nhóm tiếp tục thực hiện một cách nghiêm ngặt để có thể đi tới kết luận cuối cùng. Nhưng rõ ràng, đây là một phương pháp đầy hứa hẹn và có triển vọng sẽ mang lại cách điều trị HIV trong tương lai. Một điều chắc chắn rằng với trình độ phát triển của y học hiện nay, việc phát triển thành công phương pháp điều trị HIV chỉ còn là vấn đề thời gian mà thôi.