

CAN THIỆP LIỆU PHÁP GENE CÓ THỂ CHỮA ĐIẾC BẨM SINH

Tạp chí Y học Tự nhiên của Anh ra ngày 4/2 cho biết, các nhà khoa học trường Đại học Y và Khoa học Rosalind Franklin của Mỹ đã khôi phục được một phần thính lực và khả năng thăng bằng ở những con chuột bị điếc nặng.

Bằng việc áp dụng liệu pháp gene, các nhà khoa học đã mở ra một hướng đi mới cho việc điều trị hội chứng Usher, dạng điếc bẩm sinh luôn đi kèm với tình trạng mù lòa.

Công trình nghiên cứu đăng trên tạp chí này tập trung vào gene USH1C liên quan đến hội chứng Usher tuýp 1. Gene này kiểm soát protein "harmonin" đóng vai trò quan trọng trong tế bào lông ốc tai, chuyên phản ứng với sóng âm thanh và phát tín hiệu điện tử đến não bộ.

Các nhà nghiên cứu đã cấy một sợi vật liệu gene nhỏ được gọi là "antisense oligonucleotide" vào trong ốc tai chuột mới sinh đã được biến đổi gene để "tắt" phiên bản lỗi của gene sản xuất ra các dạng protein "harmonin".

Chỉ một lần cấy duy nhất đã khôi phục được một phần thính giác ở các tần số rất thấp, và còn giảm được triệu chứng đờ đẫn do mất thăng bằng. Một số con chuột đã mọc lông ốc tai. Kết quả này kéo dài tới vài tháng, chứng tỏ có thể chữa được tật điếc bẩm sinh nếu can thiệp sớm bằng liệu pháp gene.

Tháng trước, các bác sỹ tại Bệnh viện Mắt và Tai Massachusetts và tại khoa Y thuộc Đại học Havard của Mỹ thông báo cũng đã thành công trong việc sử dụng liệu pháp gene để biến tế bào ốc tai thành tế bào lông.

Năm 2012, các nhà điều tra Đại học California của Mỹ đã xác định được vị trí phiên bản lỗi của gene VGUT3, loại gene kiểm soát một protein có vai trò cốt yếu đối với chức năng phát tín hiệu thu nhận được của tế bào lông ốc tai.