

TRIỂN VỌNG CHỮA BỆNH PARKINSON NHỜ LIỆU PHÁP GENE

Các nhà khoa học Anh tin rằng liệu pháp gene mà họ vừa phát triển có thể mở ra hy vọng trị dứt hội chứng liệt rung - Parkinson - căn bệnh đang ảnh hưởng 4,1 triệu bệnh nhân trên toàn cầu và dự kiến sẽ tăng gấp đôi vào năm 2030. Sheila Roy, 1 trong 15 bệnh nhân Pa

Các nhà khoa học Anh tin rằng liệu pháp gene mà họ vừa phát triển có thể mở ra hy vọng trị dứt hội chứng liệt rung - Parkinson - căn bệnh đang ảnh hưởng 4,1 triệu bệnh nhân trên toàn cầu và dự kiến sẽ tăng gấp đôi vào năm 2030. Sheila Roy, 1 trong 15 bệnh nhân Parkinson trên thế giới tham gia thử nghiệm liệu pháp mới, lần đầu tiên có thể viết chữ sau 15 năm.

Bà Roy bị bệnh Parkinson khi ngoài 40 tuổi và đã chiến đấu với chứng bệnh này suốt 17 năm qua. Chứng Parkinson xuất hiện khi não từ từ ngưng sản xuất dopamine, chất thiết yếu trong kiểm soát cử động. Thiếu dopamine có thể dẫn đến các triệu chứng như rung giật tay chân, cử động chậm, thăng bằng kém... dẫn đến Parkinson. Ngoài các vấn đề sinh lý, bệnh nhân Parkinson còn gặp phải các rối loạn tâm lý và trầm cảm, ảnh hưởng rất nhiều đến cuộc sống.

Nhờ liệu pháp gene, bà Sheila Roy có thể viết, vẽ như trước

Liệu pháp mới mang tên ProSavin do công ty Oxford BioMedica phát triển sử dụng loại vi-rút đã được làm yếu đi, mang gene sản xuất dopamine vào não. Nó được cấy vào thể vân - trung tâm thần kinh vận động của não. Khi vi-rút vào đến tế bào não, nó lập trình lại các tế bào, khiến chúng dần bắt đầu sản xuất dopamine. Quy trình thử nghiệm này đang được thực hiện ở Bệnh viện Addenbrooke's ở Cambridge (Anh) và Bệnh viện Henri Mondor tại Paris (Pháp). Tiến sĩ Philip Buttery thuộc Trung tâm Phục hồi não Cambridge cho biết dù mới ở giai đoạn đầu nhưng phương pháp này mang lại nhiều kết quả khả quan. "Nó mang đến tác động có lợi tổng thể, giúp cuộc sống bệnh nhân dễ chịu hơn, có thể cho phép giảm liều lượng thuốc và ở một số bệnh nhân, chất lượng giấc ngủ và cuộc sống đều được cải thiện", Tiến sĩ Buttery nói.

Phương pháp ức chế Parkinson bằng thuốc thường gây ra nhiều tác dụng phụ cho cơ thể do phải sử dụng liều cao. Trong khi đó, việc đưa gene vào các tế bào não có thể thực hiện với liều lượng thấp và tác dụng của nó cũng tập trung hơn. Bà Roy và 5 bệnh nhân khác tại Anh được điều trị bằng liệu pháp gene mới với liều cao. Sau 3 tháng, kết quả kiểm tra cho thấy chức năng vận động của họ cải thiện đến 29%. Bà Roy cho biết: "ProSavin đã giúp tôi lấy lại sự tự tin, cho phép tôi vận động tốt hơn và mở ra hy vọng. Tôi có thể thực hiện những công việc thường ngày và lần đầu tiên sau 15 năm, tôi có thể viết chữ". Hiện bà vẫn phải dùng thuốc và các bác sĩ vẫn theo dõi mức độ sản xuất dopamine trong não của bà.

Do chỉ mới ở giai đoạn đầu, liệu pháp ProSavin chỉ được áp dụng để điều trị trên một vài bệnh nhân. Để có thể khẳng định tính an toàn và hiệu quả của nó, các nhà khoa học cần thực hiện nhiều nghiên cứu với sự tham gia của hàng trăm người. Nếu quá trình thử nghiệm diễn ra thuận lợi, ProSavin có thể trở thành phương pháp điều trị lâm sàng tại các bệnh viện trong ít nhất 5 năm nữa.