

LIỆU PHÁP GEN CÓ THỂ GIÚP BỆNH NHÂN BỊ THIẾU MÁU

Các nhà khoa học Mỹ và Pháp ngày 15/9 cho biết, những bệnh nhân bị thiếu máu thuộc loại gen hiếm có thể có hy vọng thoát khỏi căn bệnh này mà không cần phải truyền máu nhờ vào liệu pháp gen.

Nghiên cứu này, đăng trên tạp chí Nature, là một thành công hiếm thấy trong lĩnh vực liệu pháp gen, tuy nhiên, các nhà khoa học và chuyên gia nói rằng vẫn cần phải tiến hành thêm thí nghiệm để khẳng định điều này.

Beta thalassemia là bệnh di truyền lặn nhiễm sắc thể thường do đột biến gen -globin nằm trên cánh ngắn NST 11 qui định, gây giảm hoặc mất tổng hợp chuỗi globin. Beta thalassemia là một trong những bệnh huyết sắc tố phổ biến nhất khắp thế giới.

Các nhà khoa học đã sử dụng liệu pháp gen để điều chỉnh những gen bị lỗi chịu trách nhiệm về điều kiện của các tế bào gốc tủy xương và sau đó truyền ngược lại vào các bệnh nhân.

Tiến sỹ Marina Cavazzana-Calvo của Đại học Paris cho biết, sau khoảng gần ba năm, các bệnh nhân sử dụng liệu pháp này đã trở nên khỏe mạnh mà không cần phải truyền máu trong một khoảng thời gian kéo dài.

Liệu pháp gen là một phương pháp khó nhưng đầy hứa hẹn đối với y học, dựa trên ý tưởng rằng những gen bị lỗi mà gây ra một số bệnh có thể sửa chữa được. Các nhà nghiên cứu đã cố gắng tìm ra những cách thức hiệu quả để bơm những gen đã được điều chỉnh trở lại cơ thể một cách an toàn.

Các loại virus cũng thường được sử dụng để mang những gen này vào cơ thể nhưng phương pháp này mang tính rủi ro cao bởi bản thân những virus này cũng rất nguy hiểm.

Bệnh thiếu máu xảy ra khi lượng tế bào hồng cầu (RBCs) khỏe mạnh trong cơ thể xuống quá thấp. Điều này có thể dẫn đến các vấn đề sức khỏe do RBCs chứa hemoglobin, có nhiệm vụ đưa khí oxy đến các mô của cơ thể.

Bệnh thiếu máu có thể gây ra các biến chứng khác nhau, bao gồm gây mệt mỏi và gây áp lực lên các cơ quan của cơ thể.

Bệnh thiếu máu có thể do nhiều vấn đề gây ra, nhưng có 3 nguyên nhân chính gây ra thiếu máu, đó là sự phá hủy quá mức của RBCs; mất máu; và sự sản sinh RBCs không đủ.

Ngoài ra, còn có các nguyên nhân khác như do các rối loạn di truyền, các vấn đề dinh dưỡng (như thiếu sắt hay thiếu vitamin), bệnh truyền nhiễm, một số dạng bệnh ung thư hay do dược phẩm hoặc độc chất.