

ĐIỀU TRỊ THÀNH CÔNG LIỆU PHÁP GEN CHO NGƯỜI MÙ

Các nhà nghiên cứu Mỹ cho biết, một năm trước đây, 3 người mù ở độ tuổi 20 đã tình nguyện điều trị bằng liệu pháp gen. Giờ đây, thị lực họ đã có được sự cải thiện đáng kể, thậm chí một người bệnh còn có thể đọc được cả những con số của đồng hồ

Các nhà nghiên cứu Mỹ cho biết, một năm trước đây, 3 người mù ở độ tuổi 20 đã tình nguyện điều trị bằng liệu pháp gen. Giờ đây, thị lực họ đã có được sự cải thiện đáng kể, thậm chí một người bệnh còn có thể đọc được cả những con số của đồng hồ công tơ mét trên ô tô. Những thông tin liên quan sẽ được công bố trên tạp chí "New England Journal of Medicine" vào ngày 23/8.

Ba người tình nguyện này đều mắc phải bệnh mù lòa bẩm sinh (Leber Congenital Amaurosis), một loại tật của võng mạc mang tính di truyền do gen có tên gọi RPE65 (gen RPE65 tạo ra một loại Vitamin A đặc biệt cho tế bào võng mạc) xảy ra biến dị khiến cho thị lực của người bệnh giảm dần theo độ tuổi. Vì vậy một số người sau khi trưởng thành đã bị mù lòa, hiện tại vẫn chưa có liệu pháp điều trị hiệu quả nào cho căn bệnh này.

Nhóm nghiên cứu Artur V. Cideciyan thuộc trường Đại học Pennsylvania đã tiêm DNA bình thường vào virus, sau đó lại đưa virus vào tế bào mắt của người bệnh. Sau 3 tháng, thị lực của 3 người tình nguyện đã được cải thiện đáng kể, có thể nhìn thấy ánh sáng bằng mắt thường, điều mà trước đây họ không thể làm được. Hơn nữa, sau khi điều trị 1 năm, mắt và sức khỏe của họ không hề xảy ra bất kỳ phản ứng miễn dịch nào.

Trong đó, một bệnh nhân nữ trong quá trình điều trị đã tạo ra "thị lực thứ 2", đại não của cô ấy học được sau khi điều trị bằng liệu pháp gen đã có thể khôi phục tìm và thu thập thông tin ở một khu vực nào đó của võng mạc, khiến cho cô ấy đọc được các con số trên đồng hồ công tơ mét ô tô.

Năm 1999, một thiếu nữ 18 tuổi mắc phải bệnh gan sau khi điều trị 4 ngày bằng liệu pháp gen đã qua đời, sự kiện này khiến cho liệu pháp gen gặp phải rất nhiều sự chỉ trích và làm cho mọi người càng nghi ngờ về liệu pháp gen.

Artur V. Cideciyan cho biết: "Liệu pháp gen RPE65 rất an toàn, thị lực của người bệnh được sự cải thiện rõ rệt, hy vọng có thể tiếp tục tiến hành thí nghiệm để giải quyết những vấn đề về sự an toàn và tính hiệu quả".

Bệnh mù lòa bẩm sinh là một loại sắc tố võng mạc biến tính, tại Mỹ có khoảng có khoảng 2000 người mắc phải bệnh mù lòa bẩm sinh; 200 nghìn người mắc phải sắc tố võng mạc biến tính.