

Żegnaj foliowy, sterylny namiocie!

29 sierpnia 2011

Na University College London powstały dwie terapie genowe, które pomagają dzieciom z ciężko uszkodzonym układem odpornościowym. Dzieci cierpiące na SCID (ciężkie złożone niedobory odporności) rodzą się z tak uszkodzonym układem odpornościowym, że medycyna traktuje go tak, jakby w ogóle nie istniał. Takie dzieci muszą żyć w sterylnym środowisku, co ma dramatyczny wpływ na ich kontakty społeczne i możliwości rozwoju.

Teraz uczeni z UCL wiedzą, jak poradzić sobie z dwoma odmianami SCID – X-SCID (ciężki złożony niedobór odporności sprzężony z chromosomem X) oraz ADA-SCID (ciężki złożony niedobór odporności związany z niedoborem deaminazy adeozynowej). Podczas wstępnych badań klinicznych udało się pomóc 14 z 16 pacjentów.

Nowatorska terapia doprowadziła do poprawy zdrowia u 10 z 10 dzieci z X-SCID. U jednego dziecka rozwinęła się białaczka, która jest obecnie w fazie remisji. W związku z tym opracowano już bezpieczniejszą metodę leczenia.

Poprawa nastąpiła też u 4 z 6 dzieci chorujących na ADA-SCID.

Obecnie wszystkie dzieci, u których zauważono poprawę, są na tyle zdrowe, że mogą chodzić do szkoły i bez przeszkód kontaktować się z otoczeniem. Nie obowiązują ich żadne dotychczasowe ograniczenia. Dzieci muszą co prawda przyjmować leki, ale u pięciu małych pacjentów z X-SCID i trzech z ADA-SCID można było odstawić immunoglobuliny.

Profesor Adrian Thrasher, konsultant ds. immunologii pediatricznej, który nadzoruje badania nad X-SCID, powiedział: „To świetne wyniki. Po raz pierwszy możemy powiedzieć, że

znaleźliśmy lekarstwo na te choroby. Dowodzą one, że terapia genowa w przypadku zaburzeń immunologicznych to podstawa. Mamy nadzieję, że w przyszłości będziemy mogli pomóc kolejnym pacjentom.”

Radość z dobrych wyników wyraził też profesor Bobby Gaspar, konsultant ds. immunologii pediatricznej, nadzorujący badania nad ADA-SCID. Uczony zauważył przy okazji, że opracowanie skutecznej metody leczenia oznacza, iż NHS [odpowiednik polskiego NFZ – red.] zaoszczędzi miliony funtów, które obecnie są wydawane na kosztowne szczepionki enzymatyczne dla chorych dzieci. „Na całym świecie naszej terapii poddano 30 dzieci cierpiących na ADA-SCID. Żadne z nich nie zmarło, a u 70% zauważono poprawę. Obecnie wraz z kolegami z całego świata prowadzili eksperymenty nad lekami na dwie inne choroby immunologiczne. Mamy nadzieję, że terapia genowa będzie postrzegana jako rzeczywista alternatywa dla tradycyjnych metod leczenia, takich jak przeszczep szpiku. Spodziewamy się również, że technikę taką uda się rozszerzyć na inne choroby, jak np. na lizosomalne choroby spichrzeniowe.”

Gaynor Harnden, której 6-letni syn Guy brał udział w eksperymentalnym leczeniu X-SCID poinformowała, że teraz jej dziecko może grać z rówieśnikami w piłkę czy jeździć na kucyku.

Przełomowych badań dokonano w Great Ormond Street Hospital, w którym prowadzi się najwięcej na świecie badań klinicznych nad zwalczaniem chorób upośledzających układ odpornościowy dzieci.

Opracowanie: Mariusz Błoński

Na podstawie: University College London

Źródło: [Kopalnia Wiedzy](#)