

Ελπίδες για την οριστική εξάλειψη της μεσογειακής αναιμίας

/ [Επιστήμες, Τέχνες & Πολιτισμός](#)



Τι δείχνουν μελέτες που διεξάγονται σε Ευρώπη και Αμερική – Μέσα στο καλοκαίρι του 2015 θα υποβληθεί σε γονιδιακή θεραπεία ο πρώτος Έλληνας ασθενής, ο οποίος θα επιλεγεί από τους 45 που μετέχουν στο πρόγραμμα, στο νοσοκομείο Παπανικολάου, στη Θεσσαλονίκη

Αισιόδοξα μηνύματα για την οριστική εξάλειψη της μεσογειακής αναιμίας δίνουν τα αποτελέσματα των μελετών που διεξάγονται σε Ευρώπη και Αμερική για τη γονιδιακή θεραπεία της νόσου. Ήδη, από τα τέλη του 2013 έχουν υποβληθεί στη Γαλλία σε γονιδιακή θεραπεία δυο θαλασσαιμικοί ασθενείς, οι οποίοι από τον πρώτο κιόλας μήνα της θεραπείας είναι ελεύθεροι μεταγγίσεων.

Στη Θεσσαλονίκη, σε εξέλιξη βρίσκεται πρόγραμμα για τη γονιδιακή θεραπεία της θαλασσαιμίας, που εφαρμόζεται με τη συμμετοχή 45 πασχόντων στη μοναδική, στην Ελλάδα, Μονάδα Γονιδιακής και Κυτταρικής Θεραπείας του νοσοκομείου Παπανικολάου, σε συνεργασία με το Πανεπιστήμιο Washington του Seattle των ΗΠΑ.

«Με βάση αυτά που βλέπουμε μέχρι τώρα από τα αποτελέσματα των διεθνών μελετών, πιστεύουμε ότι οδεύουμε προς στην εξάλειψη της θαλασσαιμίας. Το

κόστος της γονιδιακής θεραπείας θα είναι μεγάλο, αλλά σίγουρα θα είναι πολύ μικρότερο από το κόστος των μεταγγίσεων και όλων των φαρμάκων που είναι αναγκασμένος να παίρνει ένας θαλασσαιμικός από τη γέννηση μέχρι το θάνατό του. Στην Ελλάδα, υπάρχουν περίπου 4000 θαλασσαιμικοί. Αν πετύχουμε τη γονιδιακή θεραπεία, θα πρέπει η πολιτική ηγεσία να εξετάσει το θέμα του κόστους» ανέφερε στο ΑΠΕ-ΜΠΕ η διευθύντρια της Μονάδας Γονιδιακής και Κυτταρικής Θεραπείας του νοσοκομείου Παπανικολάου, Ευαγγελία Γιαννάκη.

Όσον αφορά το πρόγραμμα της Μονάδας Γονιδιακής και Κυτταρικής Θεραπείας του Παπανικολάου, η κ. Γιαννάκη ανέφερε ότι ολοκληρώθηκε η πρώτη φάση και ότι εκτιμά πως μέσα στο καλοκαίρι του 2015 θα υποβληθεί σε γονιδιακή θεραπεία ο πρώτος Έλληνας ασθενής, ο οποίος θα επιλεγεί από τους 45 που μετέχουν στο πρόγραμμα.

Όπως εξηγεί η κ. Γιαννάκη, η πρώτη φάση του προγράμματος ολοκληρώθηκε με δύο κλινικές μελέτες που στόχευαν στη διερεύνηση μεθόδων για ασφαλή και αποτελεσματική συλλογή αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων από το περιφερικό αίμα, ύστερα από χορήγηση ειδικού φαρμακευτικού παράγοντα. Αυτά τα αρχέγονα κύτταρα κρυοκαταψύχθηκαν προκειμένου να τροποποιηθούν γενετικά, με την προσθήκη λειτουργικού γονιδίου της β-σφαιρίνης, δηλαδή να διορθωθούν και να επιστραφούν διορθωμένα στους ασθενείς. Ο στόχος είναι αυτά τα διορθωμένα κύτταρα να παράγουν φυσιολογικά αιμοσφαίρια, με ικανοποιητική ποσότητα αιμοσφαιρίνης που θα έχει ως αποτέλεσμα την απεξάρτηση του ασθενή από τις μεταγγίσεις.

«Η πρώτη φάση ολοκληρώθηκε με επιτυχία και μας έδωσε τη δυνατότητα να καθορίσουμε τη βέλτιστη στρατηγική κινητοποίησης και συλλογής των αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων ανάλογα με το εάν ο ασθενής έχει υποστεί ή όχι σπληνεκτομή ή ανάλογα με τον αριθμό των λευκών αιμοσφαιρίων στο περιφερικό αίμα πριν από την κινητοποίηση. Έχοντας ολοκληρώσει με επιτυχία το πρώτο στάδιο, προχωρούμε στην επόμενη κλινική μελέτη, που περιλαμβάνει τη γενετική διόρθωση των συλλεγέντων κυττάρων και τη χορήγησή τους στους ασθενείς, ώστε στη συνέχεια να υποβληθεί προς έγκριση στις αρμόδιες ελληνικές αρχές. Η κλινική αυτή μελέτη θα ερευνήσει την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα της χορήγησης γενετικά διορθωμένων αυτόλογων αιμοποιητικών κυττάρων στους θαλασσαιμικούς ασθενείς» πρόσθεσε η κ. Γιαννάκη.

Να σημειωθεί ότι σε διημερίδα, με θέμα «Θαλασσαιμία 2014», οι εργασίες της οποίας ξεκινούν αύριο στη Θεσσαλονίκη, σε ενότητα με θέμα τη γονιδιακή θεραπεία, θα παρουσιαστεί από τον συνεργάτη της κ. Γιαννάκη, αιματολόγο Βαρνάβα Κωνσταντίνου, ανακοίνωση με θέμα: «Η γονιδιακή θεραπεία της β-

θαλασαιμίας σε κλινικές δοκιμές: Ευρώπη- ΗΠΑ- Θεσσαλονίκη».

Πηγή: protothema.gr