

Gene therapy (How and to whom?)

Ahmed El-Sayed El-Sayed Ghanaym

الجين هو الوحدة الوراثية في جسم الكائن الحي ولكل وحدة وراثية أو جين عمل معين يقوم به ويكون هذا العمل تركيباً أو وظيفياً لجسم الإنسان. وأوضحت النتائج الأخيرة لمشروع المجين البشري التي أعلن عام 2001م أن عدد هذه الجينات في الإنسان هو 30.000 جين فيما كان يعتقد أنه حوالي 100.000 مورثة (جين)، هذه الجينات مجتمعة تحمل المعلومات الكفيلة لإنماء البويضة الملقحة إلى إنسان بالغ كما أنها مسؤولة عن خصائصه المظهرية وكذلك الخصائص الوظيفية اللازمة لعمل الجسم وبقيائه. ويمكن تعريف العلاج الجيني على أنه علاج الأمراض عن طريق استبدال الجين المعطوب بأخر سليم أو إمداد خلايا المريض بعدد كاف من الجينات السليمة. ويقدر عدد الأمراض المعروفة والتي تسببها طفرات جينية بـ 1500 مرض تتراوح بين مرض السكري والربو والأزمة القلبية إلى السرطان، يقدر عدد الذين يعانون من عيوب خلقية عند الميلاد في أمريكا خمسة عشر مليون شخصاً 80% من هذه الحالات سببها تغيرات وراثية، كما وجد أن 50% من حالات الإجهاض و 40% من حالات وفيات الأطفال جميعها مردها عوامل وراثية. ووجد أيضاً أن 30% من عدد الأسرة في مستشفيات أمريكا شغلت بمرضى الأمراض الوراثية، يتضح من ذلك أن الأمراض الوراثية وغير الوراثية الناتجة عن خلل جيني أحد أكبر المشاكل التي تواجه الإنسانية ولا يجب أن نلقى اللوم وحده على الجينات (المورثات) فإن تغيرها غالباً ما يكون لأسباب بيئية، إن الصحة هي توازن في التفاعل بين المورثات والبيئة، وكذلك ليس بالضرورة أن كل طفرة وراثية تحدث في مجين الإنسان تسبب مرضاً حيث أنه في كثير من الأحيان تتولد طفرات في أماكن لا تؤدي إلى تغيير في وظيفة البروتين المنتج حيث يكون التغيير في أطراف البروتين المنتج وليس في مركز البروتين الفعال، أو قد تسبب الطفرة نقصاً في كمية البروتين المنتج أو نقصاً في نشاطه. ويقسم العلاج الجيني بناءً على الخلايا المستهدفة إلى قسمين: الأول هو العلاج للخلايا الجسدية أي إصلاح أي خلل جيني على مستوى جميع خلايا الجسم ما عدا الخلايا الجنسية. والنوع الثاني: هو العلاج الجيني على مستوى الخلايا الجنسية حيث يتم علاج بويضة الأنثى أو الحيوان المنوي للذكر أو البويضة الملقحة (الزيجوت) في مراحل النمو الأولى وقبل أن تتمايز إلى خلايا متخصصة. والعلاج بالجينات لم يقتصر على الاهتمام بمعالجة الأمراض الوراثية بل تعداه إلى الأمراض غير الوراثية والتي تؤثر في قطاع كبير من العالم ومن أهمها السرطان الذي يعتبر في النهاية مرض مناعي حيث يفشل جهاز المناعة في التعرف على الخلية المحولة أو السرطانية والقضاء عليها ومن ثم تنمو وتنقسم هذه الخلية لتولد الورم السرطان وكانت نتيجة علاج السرطان بالجينات أن انحسر أو اختفى الورم في ثلث المرضى ومن الاستراتيجيات الأخرى المعقدة لعلاج السرطان هو إيقاف نشاط الجين المسبب للسرطان أو الجين المورم. ويوجد الآن في العالم عدد كبير من الطرق المعتمدة في العلاج الجيني منها حوالي 125 في الولايات المتحدة الأمريكية و 48 في أوروبا وواحد في الصين وآخر في اليابان. ومعظم هذه البرامج تركز على علاج مرضى السرطان ونقص المناعة المكتسب وهناك 11 برنامجاً لعلاج 9 أمراض وراثية وثلاث برامج لعلاج أمراض الأوعية الدموية الطرفية والتهاب المفاصل الروماتيزمية وضيق الشرايين الدموية ومن أهم ما يشغل العلماء على ضوء ما سبق ذكره هو إمكانية أن يكون لهذا العلاج آثار غير متوقعة ولا يحمد عقابها وأحد هذه المخاوف هو إمكانية أن ينغرس الجين الجديد في المكان الخاطئ أو في جين سليم فيسبب إيقافه وتعطيله عن العمل ومن أخطر المحاذير هو أن ينغرس الجين المحمول في الجين المثبط للسرطان ويوقفه عن العمل وبذلك تنطلق الخلايا من عقالها وتنمو نمواً سرطانياً أو أن يسبب هذا الإنغراس الخاطئ تنشيط طليعة الجين المورم الذي يكون على حالة غير نشطة وبحوله إلى جين مورم إلى جانب ذلك فإن إمكانية وصول الجين المنقول إلى الخلايا التناسلية مسبباً بذلك تغييرات أمر قائم مما يترتب عليه انعكاسات أخلاقية واجتماعية. ومن هنا جاء الهدف من هذا البحث وهو إيضاح كافة

الوسائل وطرق العلاج بالجينات وكذلك دواعي استعمالها و الأمراض الباطنيه التي يمكن أن تستخدم الجينات فى علاجها .