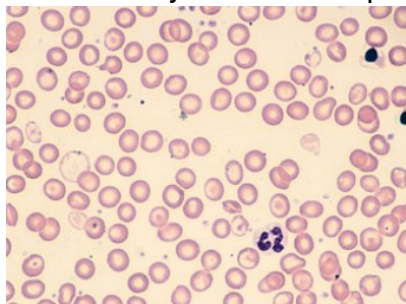


Ученые из Франции и США успешно опробовали новый метод генной терапии на пациенте, страдающем тяжелым генетическим заболеванием крови – бета-талассемией, сообщает AFP. После экспериментального лечения состояние больного улучшилось настолько, что он смог обойтись без регулярных переливаний крови, которые проводились ему начиная с трехлетнего возраста.



*Деформация эритроцитов
при бета-талассемии,
иллюстрация с сайта
mangalorean.com*

Бета-талассемия – деформация эритроцитов крови, обусловленная мутацией гена, кодирующего входящий в состав гемоглобина белок бета-глобин. Тяжелые формы бета-талассемии при отсутствии лечения приводят к гибели больного в раннем детстве. Вариантами лечения являются регулярные переливания крови, либо трансплантация костного мозга. Последний метод недоступен многим пациентам из-за невозможности найти подходящего донора.

Экспериментальная методика генной терапии талассемии была разработана исследователями университетов Париж-Декарт, Париж VII и Париж XI, Колумбийского, Пенсильванского университетов и ряда других научно-исследовательских и медицинских учреждений. Ученым удалось встроить в клетки костного мозга пациента отсутствовавший у него нормальный вариант гена бета-глобина. В качестве переносчика (вектора) гена использовался безвредный для человека вирус.

Модифицированные клетки костного мозга пациента дали начало новой популяции эритроцитов, содержавших неповрежденный гемоглобин. Спустя 33 месяца после лечения нормальный вариант гемоглобина составлял около трети от уровня этого белка в крови больного. Этого оказалось достаточно для того, чтобы отказаться от регулярных переливаний крови, которые были жизненно необходимы больному до начала лечения.

По словам авторов исследования, лечение привело к устойчивым положительным сдвигам в состоянии больного и существенно повысило качество его жизни. Ученые признают, однако, что имеющиеся на сегодняшний день результаты не являются

окончательными.

Одним из возможных негативных последствий генной терапии является высокая вероятность развития у больных лейкоза – онкологического заболевания, вызванного бесконтрольным размножением неспециализированных клеток крови.

По данным исследователей, у перенесшего экспериментальное лечение пациента наблюдается незначительное увеличение числа клеток-предшественников лейкоцитов. Тем не менее, ученые полагают, что на данный момент это отклонение не представляет угрозы для больного.

Отчет об исследовании [опубликован](#) в журнале Nature.

{pageviews 00 none} *Информация предоставлена сайтом www.medportal.ru*
