



جهش

شماره اول | بهار و تابستان ۱۴۰۴

شناسنامه نشریه:

سال اول - شماره ۱ - بهار و تابستان ۱۴۰۴

- صاحب امتیاز: انجمن علمی دانشجویی بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران
- مدیر مسئول: جواد یغموریان خوجینی
- سردبیر: بشیر مسیبی
- اعضای هیئت تحریریه: زهرا عباسی، زهرا باقریان، بشیر مسیبی، جواد یغموریان خوجینی، کیانا تیموری، نرگس رضایی
- طراح و صفحه آرا: نیلوفر بیرانوند

- باتشکراز:

- سرپرست محترم دانشگاه علوم پزشکی تهران جناب آقای دکتر رییس کرمی
- معاونت محترم فرهنگی و دانشجویی دانشگاه علوم پزشکی تهران: جناب آقای دکتر پور غریب
- ریاست محترم دانشکده فناوری های نوین پزشکی: جناب آقای دکتر فریدی
- مدیر گروه محترم گروه بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران: جناب آقای دکتر بابک نگاهداری
- معاونت محترم فرهنگی و دانشجویی دانشکده فناوری های نوین پزشکی: جناب آقای دکتر طالب
- کارشناس محترم نشریات معاونت فرهنگی و دانشجویی دانشگاه علوم پزشکی تهران: جناب آقای سلطان پور

- راه های ارتباطی:

- پست الکترونیک: Satimbiotechnology@yahoo.com
- آدرس کانال تلگرام: https://t.me/Biotechnology_satim

فهرست



۱

رمزگشایی از کد ژنتیکی: سفر به اعماق ژنوم

۳

ویرایش ژنوم

۵

ژن درمانی

۷

رقابت سخت برای توسعه فناوری های ژن درمانی

۹

آیا باید در خصوص ژن درمانی نگران باشیم؟

۱۱

مصاحبه (گفت و گو با دکتر بابک نگاهداری)

۱۳

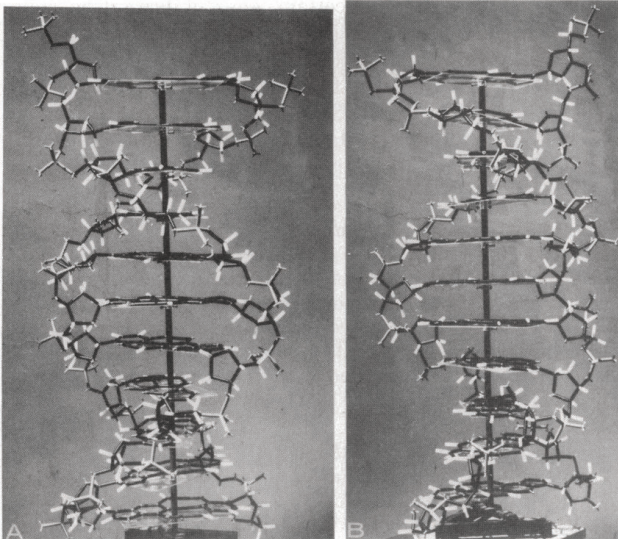
از ژن تا سلامت: داستان موفقیت ژن درمانی در پزشکی شخصی سازی شده



رمزگشایی از کد ژنتیکی: سفر به اعماق ژنوم

نویسنده: بشیر مسیپی

(کاندیدای دکتری تخصصی بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران)



"اکنون ما معتقدیم که DNA یک کد است. این یعنی ترتیب بازها (حروف) یک ژن را از ژن دیگر متمایز می‌کند (همان‌طور که یک صفحه چاپ با صفحه دیگر متفاوت است). اکنون می‌توانیم نحوه کپی‌برداری طبیعت از ژن‌ها را ببینیم. زیرا اگر دو زنجیره به دو زنجیره جداگانه باز شوند و سپس هر زنجیره زنجیره دیگری را برای اتصال به خود ایجاد کند، چون باز A همیشه با T و G با C ترکیب می‌شود، دو نسخه خواهیم داشت که..."

اما این آغاز راه بود. دانشمندان به سرعت به رمزگشایی از کد ژنتیکی پرداختند، کدی که زبان مشترک تمام موجودات زنده بود. رمزگشایی از کد ژنتیکی، یکی از بزرگترین دستاوردهای علمی قرن بیستم بود. این کشف، دریچه‌ای نو به سوی دنیای شگفت‌انگیز زیست‌شناسی گشود و راه را برای پیشرفت‌های شگرفی در حوزه‌های پزشکی، کشاورزی و زیست‌فناوری هموار کرد.

سوالات بزرگی که پس از کشف ساختار DNA مطرح شدند، "چگونه از کد استفاده می‌شود؟" و "کد برای چیست؟" بودند. فرانسیس کریک توجه خود را به یافتن پاسخ این سوالات برای 13 سال آینده معطوف کرد. جورج گاموف، که به خاطر نظریه بیگ بنگ معروف است، "باشگاه کراوات RNA" با ۲۰ عضو را با واتسون تأسیس کرد تا در مورد انتقال اطلاعات توسط DNA بحث کنند. کراوات‌های با طرح RNA به همه اعضای باشگاه ارائه شد (تصویر ۱) و یک سنجاق سینه طلایی با اختصار یکی از ۲۰ آمینواسید به هر عضو داده شد. برای کریک یک "TYR" (تیروزین) بود. "فرضیه آداپتور" معروف کریک در باشگاه کراوات RNA مطرح شد، اما زمانی که پل زامینک و همکارانش RNA ناقل (tRNA) را کشف کردند، کریک به دلیل اندازه غیرمنتظره بزرگ آن، باور نداشت که این در واقع آداپتور است. کریک اصرار داشت که ۲۰ آداپتور مختلف برای آمینواسیدها وجود خواهد داشت و این آداپتورها آمینواسیدها را برای اتصال به دنباله یک پروتئین در حال شکل‌گیری خواهند آورد.

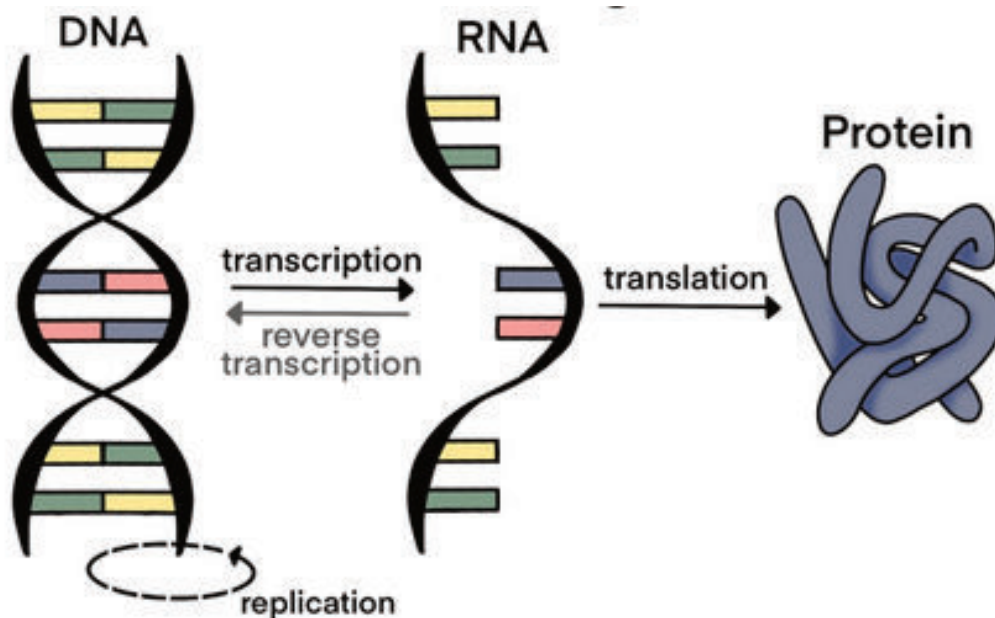
همه چیز از سال ۱۹۵۳ شروع شد. تا قبل از آن درک ما درباره ساختار ژنوم و نحوه انتقال اطلاعات ژنتیکی بین نسلهای بسیار محدود بود. دانشمندان زیادی در سراسر جهان در حال یافتن پاسخ برای پرسشهای بیشمار بودند که در این زمینه مطرح میشد. تا آنکه در نیمه نخستین سده بیستم، جیمز واتسون و فرانسیس کریک به آستانه کشفی بزرگ رسیدند. آن دو در مسابقه‌ای نفس‌گیر برای یافتن ساختار DNA، مولکولی که اسرار حیات را در خود نهفته داشت، می‌کوشیدند.

سرانجام در سال ۱۹۵۳، پرده از روی رازی بزرگ برداشته شد. واتسون و کریک، ساختار مارپیچ دوگانه DNA را که شبیه نردبانی پیچیده بود، آشکار کردند. این کشف، تحولی شگرف در زیست‌شناسی ایجاد کرد و کلید درک چگونگی ذخیره، تکثیر و انتقال اطلاعات ژنتیکی از نسلی به نسل دیگر را به دست دانشمندان داد.

جالب است که پسرش، مایکل، که آن زمان ۱۲ ساله بود، اولین کسی بود که اولین توصیف کتبی از کد ژنتیکی را خواند. کریک در نامه‌ای به مایکل نوشت:



تصویر ۱: عضو از اعضای باشگاه کراوات RNA. از بالا سمت چپ به ترتیب واتسون و کریک و اروین چارگوف. از پایین سمت چپ به ترتیب جیمز واتسون و الکس ریچ.



تصویر ۲: اصل مرکزی زیست‌شناسی، یک مدل ساده‌شده از جریان اطلاعات ژنتیکی در یک سیستم بیولوژیکی است که اغلب به این صورت بیان می‌شود. به عبارت دیگر، اطلاعات ژنتیکی از DNA به RNA رونویسی شده و سپس RNA به پروتئین ترجمه می‌شود. این اصل توسط فرانسیس کریک در سال ۱۹۵۸ پیشنهاد شد و به عنوان یک چارچوب اساسی برای درک نحوه عملکرد سلول‌ها مورد استفاده قرار گرفت. اگرچه اصل مرکزی یک مدل بسیار مفید بوده است، اما با پیشرفت دانش در زمینه زیست‌شناسی مولکولی، برخی استثناها و پیچیدگی‌هایی کشف شده است که نشان می‌دهد این مدل به طور کامل تمام جنبه‌های جریان اطلاعات ژنتیکی را پوشش نمی‌دهد. برای مثال، برخی از ویروس‌ها مانند ویروس HIV آنزیمی به نام ترانسکریپتاز معکوس دارند که می‌تواند از روی RNA، DNA بسازد (در تصویر به صورت reverse transcription نشان داده شده است). این فرآیند خلاف جهت جریان اطلاعات در اصل مرکزی است و نشان می‌دهد که جریان اطلاعات می‌تواند در برخی موارد دو طرفه باشد.

جواب نیز کاملاً روشن است. همه بیماری‌های انسانی ناشی از اختلال در واحدهای ژنی نیستند. اگرچه ژن‌ها نقش بسیار مهمی در بروز بسیاری از بیماری‌ها دارند، اما عوامل دیگری نیز در اگرچه ژن‌ها نقش بسیار مهمی در بروز بسیاری از بیماری‌ها دارند، اما عوامل دیگری نیز در ایجاد بیماری‌ها دخیل هستند. وامل محیطی مانند رژیم غذایی، سبک زندگی، آلودگی هوا، مواد شیمیایی و عوامل عفونی نیز می‌توانند نقش مهمی در ایجاد بیماری‌ها داشته باشند. برای مثال، سیگار کشیدن می‌تواند باعث سرطان ریه شود و ویروس‌ها می‌توانند باعث بیماری‌های عفونی شوند. اما نکته اساسی که در این زمینه وجود دارد این است که بسیاری از بیماری‌ها نتیجه‌ی تعامل بین ژن‌ها و محیط هستند. به عنوان مثال، داشتن استعداد ژنتیکی برای بیماری قلبی ممکن است در صورتی که فردی رژیم غذایی ناسالم و سبک زندگی کم تحرک داشته باشد، خطر ابتلا به این بیماری را افزایش دهد. در واقع از این منظر، ژنتیک فرد به مثابه یک تفنگ پر و آماده شلیک است که محیط و سبک زندگی نامناسب می‌تواند ماشه را بچکاند.

در ادامه قصد داریم به مسایل مهمی که در مورد دستکاری ژنتیکی با هدف درمان بیماری‌ها وجود دارد، بپردازیم و پاسخ‌های مناسبی برای آنها فراهم کنیم. سؤالاتی از قبیل: تغییرات در ساختار ژن‌ها و DNA تا چه اندازه شذنی و امکان‌پذیر است؟ بشر امروزی در این زمینه چه ابزارهای در اختیار دارد؟ آیا می‌توانیم با دستکاری ژنتیکی بیماری‌های مرتبط را درمان کنیم؟ چشم‌انداز و آینده این تحولات چیست؟ و مرزهای اخلاقی دستکاری ژنتیکی تا کجاها ترسیم شده است؟

از دیگر کارهای مهم کریک مطرح کردن " اصل مرکزی" بود. او در سمپوزیومی برای زیست‌شناسی آزمایشی در مورد "تکثیر زیستی ماکرومولکول‌ها" که در سپتامبر ۱۹۵۷ در دانشگاه کالج لندن برگزار شد، درباره "اصل مرکزی" سخن گفت که تا به امروز به مقدار زیادی صادق باقی مانده است (تصویر ۲). اصل مرکزی زیست‌شناسی مولکولی یک قانون اساسی در زیست‌شناسی است که جریان اطلاعات ژنتیکی را در یک سلول زنده توصیف می‌کند. به عبارت ساده، این اصل می‌گوید که اطلاعات ژنتیکی به صورت یک‌طرفه از DNA به RNA و سپس به پروتئین منتقل می‌شود.

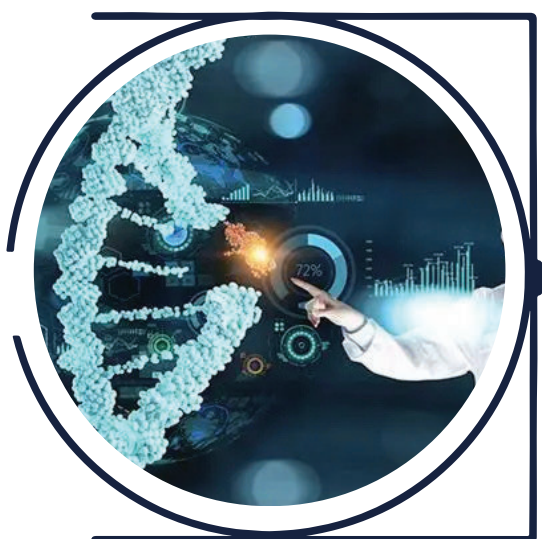
تا اینجا نگاهی کوتاه به تاریخچه کشف رمز ژنتیکی و ساختار DNA داشتیم. در ادامه می‌خواهیم کمی در مورد ژن بیشتر بدانیم. ژن یک قطعه از DNA است که حاوی دستورالعمل‌هایی برای ساخت یا تنظیم پروتئین‌ها است، که بلوک‌های ساختمانی زندگی هستند. ژن‌ها واحد اساسی وراثت هستند که از والدین به فرزندان منتقل می‌شوند و مسئول تعیین ویژگی‌های فیزیکی و بیولوژیکی یک فرد هستند. ژن‌هایی که برای پروتئین‌ها کدگذاری می‌کنند، ژن‌های کدکننده پروتئین نامیده می‌شوند. این ژن‌ها دستورالعمل‌هایی برای ساخت پروتئین‌هایی که بدن را می‌سازند و پشتیبانی می‌کنند، مانند ماهیچه‌ها، استخوان‌ها، غضروف و موارد دیگر، ارائه می‌دهند. در واقع، ژن‌ها مستقیماً بر ویژگی‌های فیزیکی مانند رنگ مو، رنگ چشم، رنگ پوست و موارد دیگر تأثیر می‌گذارند و هرگونه اختلال در آنها می‌تواند باعث بیماری شود. پس می‌توانید تصور کنید مطالعه ژن‌ها (ساختار و عملکرد) چه مزایایی در تشخیص و درمان بیماری‌های مختلف می‌تواند داشته باشد.

اما سوالی که اینجا مطرح شود این است که "آیا همه بیماری‌های انسانی ناشی از اختلال در واحدهای ژنی است؟".

ویرایش ژنوم

تهیه و تنظیم: کیانا تیموری (دانشجوی کارشناسی ارشد بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران)

ابزاری قدرتمند با مسئولیت‌های بزرگ



ویرایش ژنوم یکی از پیشرفته‌ترین فناوری‌های زیستی است که به دانشمندان این امکان را می‌دهد تا تغییرات دقیقی در DNA موجودات زنده ایجاد کنند. در حالی که برخی این فناوری را روشی برای درمان بیماری‌های ژنتیکی و بهبود ویژگی‌های زیستی می‌دانند، برخی دیگر آن را تهدیدی برای اخلاقیات و ماهیت انسان تلقی می‌کنند. اما ما تا چه اندازه توانایی تغییر ژنوم را داریم؟ تصویری که در فیلم‌های علمی-تخیلی می‌بینیم، مانند طراحی نوزادان سفارشی یا آبر انسان‌ها، چه قدر به واقعیت نزدیک است؟ در ادامه با بررسی ماهیت و کاربردهای ویرایش ژنوم، تلاش داریم بینش علمی و دقیقی از این فناوری ارائه دهیم.

ماهیت ویرایش ژنوم

خواهد بود. از طرف دیگر، با وجود امکان‌پذیر تر بودن ویرایش ژنوم در مراحل جنینی، این کار مسائل اخلاقی زیادی را به دنبال دارد. بنابراین ویرایش ژن‌ها معمولاً در حد اصلاح نقص‌های ژنتیکی، افزایش مقاومت به بیماری‌ها و بهبود ویژگی‌های خاص مانند رشد گیاهان یا حیوانات اهلی محدود می‌شود و تلاش‌هایی که برای ارتقای عملکرد انسان با ویرایش ژنوم در حال انجام است، هنوز در مراحل تحقیقاتی هستند و چالش‌های بسیاری دارند.

در چه مرحله‌ای از حیات می‌توان ژنوم را ویرایش کرد؟
ویرایش ژنوم را می‌توان در سطوح مختلفی از حیات اعمال کرد:

ویرایش ژنوم سلول‌های سوماتیک (Somatic Editing):

و این روش بر سلول‌های غیر زایشی اثر می‌گذارد و تغییرات آن به نسل‌های بعدی منتقل نمی‌شود. این رویکرد بیشتر برای اصلاح مشکلات ژنتیکی‌ای استفاده می‌شود که در طول زندگی فرد بروز می‌کنند.

ویرایش ژنوم فرایندی است که در آن بخش‌هایی از DNA یک موجود زنده تغییر داده می‌شود. روش‌های مختلفی برای این کار وجود دارد که از میان آن‌ها، CRISPR-Cas9 به دلیل دقت، کارایی و هزینه پایین، محبوب‌ترین است. این ابزار که از سیستم ایمنی باکتری‌ها الهام گرفته شده، به دانشمندان کمک می‌کند تا به صورت هدفمند ژن‌های معیوب را حذف کرده یا جایگزین کنند. هدف‌گیری و برش DNA در این سیستم، به کمک guide RNA و آنزیم برش‌دهنده Cas9 انجام می‌شود، سپس سلول‌ها با استفاده از مکانیزم‌های ترمیمی مانند HDR، را ترمیم کرده و تغییرات ژنتیکی مدنظر اعمال می‌شود.

قدرت ما در تغییر ژنوم: حقیقت و تخیل!

در فیلم‌های علمی-تخیلی، اغلب شاهد نمایش ابرانسان‌هایی با توانایی‌های خارق‌العاده هستیم که از طریق ویرایش ژنوم به وجود آمده‌اند. اما در واقعیت، پیچیدگی سیستم‌های زیستی و تعاملات ژنتیکی، چنین پیشرفت‌هایی را دشوار می‌کند. ویرایش ژنوم سلول‌های سوماتیک فرد بالغ با محدودیت‌هایی همراه است، چراکه بسیاری از بافت‌ها و اندام‌ها توانایی ترمیم DNA را ندارند به همین دلیل ایجاد تغییرات گسترده ژنتیکی در یک فرد بالغ پیچیده و پرریسک

بهبود ویژگی‌های انسانی و ویرایش ژنوم

تقویت توانایی‌های انسانی از طریق ویرایش ژنوم یکی از حوزه‌های تحقیقاتی است، اگرچه هنوز در مراحل اولیه قرار دارد. نظریه‌هایی درباره بهبود عملکرد شناختی از طریق اصلاح ژن‌های مرتبط با یادگیری و حافظه مطرح شده‌اند. همچنین، مطالعات روی مدل‌های حیوانی نشان می‌دهند که تغییرات ژنتیکی می‌توانند باعث افزایش توده و قدرت عضلانی شوند که در آینده ممکن است در درمان بیماری‌های تحلیل عضلانی کاربرد داشته باشد. علاوه بر این، برخی تحقیقات روی حیوانات نشان داده‌اند که اصلاح ژن‌های مرتبط با فرایندهای پیری می‌تواند باعث افزایش طول عمر شود، اما اثبات تأثیر آن در انسان هنوز به مطالعات بیشتری نیاز دارد.

ایده‌هایی مانند تغییر ویژگی‌های ظاهری و افزایش استقامت بدنی از دیگر کاربردهای ویرایش ژنوم است اگرچه همچنان در سطح نظری باقی مانده اما این تغییرات از نظر ایمنی و اخلاقی چالش‌برانگیز هستند. همچنین، امکان ایجاد گونه‌های جدید انسانی یا حیوانی به کمک این فناوری، ملاحظات علمی و اخلاقی گسترده‌ای را به همراه دارد.

نمونه‌های عملی ویرایش ژنوم انسانی

جنگالی‌ترین مورد مربوط به دکتر هی جیانکوی در چین است که در سال ۲۰۱۸ اعلام کرد دو نوزاد با ژن‌های اصلاح‌شده برای مقاومت در برابر ویروس HIV متولد شده‌اند. این اقدام با محکومیت شدید علمی و اخلاقی مواجه شد، زیرا نه تنها استانداردهای ایمنی رعایت نشده بود، بلکه پیامدهای احتمالی این تغییرات در طولانی‌مدت مشخص نبودند. وی به دلیل نقض مقررات علمی و اخلاقی به زندان محکوم شد و این موضوع باعث شد جامعه علمی قوانین سخت‌گیرانه‌تری در مورد ویرایش ژنوم انسانی وضع کند.

چشم‌انداز پیش‌رو

ویرایش ژنوم، ابزاری قدرتمند است که می‌تواند تحولاتی در علم پزشکی و زیست‌شناسی ایجاد کند. در حالی که این فناوری می‌تواند به درمان بیماری‌های ژنتیکی کمک کند، نگرانی‌های اخلاقی و خطرات ناشناخته‌ای نیز به همراه دارد. آینده ویرایش ژنوم بستگی به نحوه مدیریت این فناوری دارد و جامعه علمی باید با احتیاط و دقت، مسیر پیشرفت آن را تعیین کند. آیا در آینده انسان‌ها واقعاً می‌توانند ویژگی‌های ژنتیکی خود را به دلخواه تغییر دهند، یا این ایده همچنان در قلمرو تخیل باقی خواهد ماند؟ زمان پاسخ این سوال را خواهد داد.



ویرایش ژنوم سلول‌های زایشی (Germline Editing):

در این روش، تغییرات ژنتیکی در مراحل اولیه رشد جنین، معمولاً در زیگوت یا سلول‌های اولیه بلاستوسیست، اعمال می‌شود. از آنجا که این تغییرات در سلول‌های زایشی (Germ Cells) نیز وجود خواهند داشت، تمام سلول‌های بدن موجود جدید دارای ژن‌های ویرایش‌شده خواهند بود و این اصلاحات به نسل‌های آینده نیز منتقل می‌شوند. این روش به‌ویژه برای پیشگیری از بیماری‌های ژنتیکی مونوژنیک مانند فیروز کیستیک یا بیماری هانتینگتون جذاب به نظر می‌رسد. با این حال اثرات بلندمدت آن هنوز به‌طور کامل مشخص نشده و نگرانی‌هایی درباره تغییرات ناخواسته و اثرات غیرقابل پیش‌بینی بر سایر ژن‌ها با این روش وجود دارد.

کاربردهای پزشکی و بالینی ویرایش ژنوم

یکی از امیدبخش‌ترین جنبه‌های ویرایش ژن، درمان بیماری‌های ژنتیکی است. بسیاری از اختلالات ارثی مانند کم‌خونی داسی‌شکل، دیستروفی عضلانی دوشن، و فیروز کیستیک نتیجه جهش‌های خاص در DNA هستند. با استفاده از CRISPR-Cas9، محققان موفق شده‌اند برخی از این جهش‌ها را در مدل‌های حیوانی اصلاح کنند و در مواردی، آزمایش‌های انسانی نیز آغاز شده است. در سال ۲۰۲۱، نخستین بیمار مبتلا به کم‌خونی داسی‌شکل تحت درمان موفقیت‌آمیز با این روش قرار گرفت و نتایج اولیه بسیار امیدوارکننده بود.

همچنین تحقیقات نشان داده‌اند که با تغییر ژن‌های خاص در سلول‌های ایمنی، می‌توان آن‌ها را برای مبارزه مؤثرتر با سرطان آماده کرد. روش‌هایی مانند ویرایش ژنوم سلول‌های T در درمان سرطان‌های مقاوم مانند لوسمی مورد استفاده قرار گرفته‌اند. همچنین مطالعاتی برای استفاده از این فناوری در درمان سرطان‌های دیگر از جمله گلیوبلاستوما، در حال گسترش است. زمینه‌ی تحقیقاتی دیگر، استفاده از ویرایش ژن برای درمان بیماری‌های عصبی مانند آلزایمر، پارکینسون و حتی برخی اختلالات روانی مانند اسکیزوفرنی است. اگرچه این فناوری هنوز در مراحل ابتدایی است، اما نتایج اولیه روی مدل‌های حیوانی نشان داده که امکان تعدیل فعالیت برخی از ژن‌های مرتبط با این بیماری‌ها وجود دارد.

ژن درمانی

زهرا عباسی (دانشجوی دکتری تخصصی بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران)

اولین ژن درمانی برای درمان بیماری در سال ۱۹۹۰ در ایالات متحده آمریکا و برای درمان یک بیماری به نام آدنوزین دآمیناز (ADA) شروع شد. این بیماری یک اختلال ژنتیکی نادر است که موجب نقص سیستم ایمنی در افراد می‌شود. در این روش، دانشمندان ژن سالم ADA را به سلول‌های سفید خون بیمار منتقل کردند تا بتوانند عملکرد سیستم ایمنی را بهبود بخشند. این کار با استفاده از یک ویروس به نام ویروس رتروویروس انجام شد که به عنوان یک ناقل ژن برای انتقال ژن سالم ADA به سلول‌ها استفاده شد. این آزمایش توسط دکتر ویلیام اندرسون و همکارانش در مؤسسه ملی بهداشت در بتزدا، مریلند انجام شد. این آزمایش اولین تلاش موفق برای استفاده از ژن درمانی برای درمان یک بیماری در انسان بود و راه را برای توسعه بیشتر این روش برای درمان سایر بیماری‌ها باز کرد.

ز آن زمان تاکنون، ژن درمانی برای درمان بسیاری از بیماری‌ها از جمله برخی از انواع سرطان، بیماری‌های ژنتیکی و بیماری‌های عفونی استفاده شده است. این روش درمانی به طور مداوم در حال توسعه و بهبود است و امید است که در آینده بتواند برای درمان بسیاری از بیماری‌ها که در حال حاضر درمان ندارند، مورد استفاده قرار گیرد. در حال حاضر، درمان ژنتیکی (ژن درمانی) به مراحل پیشرفته‌ای رسیده است و در بسیاری از بیماری‌های ژنتیکی و غیرژنتیکی مورد استفاده قرار می‌گیرد. در ادامه به برخی از مهم‌ترین مراحل و پیشرفت‌های فعلی در این حوزه اشاره می‌کنم:



تصویر ۱: تصاویر قبل و بعد از آشنائی دسلویا (Ashanti DeSilva)؛ در تصویر سمت چپ، آشنائی در کنار دکتر دابلو. فرنچ اندرسون (Dr. W. French Anderson) دیده می‌شود. در تصویر سمت راست، آشنائی پس از انجام فرایند درمان ژنی نشان داده شده است؛ او اکنون بزرگ شده و سالم است!

تکنولوژی‌های تحویل ژن:

وکتورهای ویروسی: ویروس‌های غیرآسیب‌زا مانند آدنوآسوسیتید ویروس (AAV) و لنتی ویروس‌ها به طور گسترده برای تحویل ژن‌ها به سلول‌های هدف استفاده می‌شوند. نانوپارتیکل‌ها: نانوپارتیکل‌های غیریولوژیکی نیز برای تحویل ژن‌ها مورد بررسی قرار گرفته‌اند. الکتروپوریشن: الکتروپوریشن برای انتقال ژن به سلول‌ها استفاده می‌شود.

روش‌های اصلاح ژن:

CRISPR/Cas9: این تکنولوژی اجازه می‌دهد تا ژن‌ها را به طور دقیق و بهینه اصلاح کنیم. CRISPR/Cas9 در درمان بیماری‌های ژنتیکی مانند بیماری‌های ژنتیکی چشم، بیماری‌های قلبی، و سرطان‌ها مورد استفاده قرار گرفته است. ZFNs و TALENs: این تکنولوژی‌ها نیز برای اصلاح ژن‌ها مورد استفاده قرار می‌گیرند، اما CRISPR/Cas9 به دلیل سادگی و کارایی بیشتر، محبوب‌تر است.

کاربردهای بالینی:

کلینیک‌های درمان ژنتیکی: بسیاری از مراکز پزشکی برخی درمان‌های ژنتیکی را به صورت استاندارد ارائه می‌دهند. آزمایش‌های بالینی: بسیاری از آزمایش‌های بالینی در حال انجام هستند تا کارایی و ایمنی درمان‌های ژنتیکی را بررسی کنند.

بیماری‌های مورد درمان:

در حال حاضر، ژن درمانی در چندین مرحله مختلف قرار دارد:

- بیماری‌های ژنتیکی: ژن درمانی برای درمان بیماری‌های ژنتیکی مانند فیبروز کیستیک، هموفیلی استفاده می‌شود. در این روش، ژن سالم به سلول‌های بیمار منتقل می‌شود تا بتواند عملکرد ژن معیوب را جایگزین کند. بیماری‌های ژنتیکی: بیماری‌های مانند میوپاتی (BMD (Bucharest Muscular Dystrophy)، و بیماری‌های ژنتیکی چشم مانند Leber's congenital amaurosis مورد درمان قرار گرفته‌اند.
- سرطان: ژن درمانی برای درمان برخی از انواع سرطان مانند سرطان خون و سرطان مغز استفاده می‌شود. در این روش، ژن‌های خاصی به سلول‌های سرطانی منتقل می‌شوند تا بتوانند سلول‌های سرطانی را از بین ببرند. درمان ژنتیکی برای سرطان‌ها، به ویژه سرطان‌های خونی مانند لوکمی، با استفاده از CAR-T cell therapy (سلول‌های T مهندسی‌شده) موفقیت‌آمیز بوده است.
- بیماری‌های عفونی: ژن درمانی برای درمان بیماری‌های عفونی مانند اچ‌آی‌وی و هپاتیت استفاده می‌شود. در این روش، ژن‌های خاصی به سلول‌های بیمار

منتقل می‌شوند تا بتوانند سلول‌های آلوده را از بین ببرند.

۴. **بیماری‌های عصبی:** ژن درمانی برای درمان بیماری‌های عصبی مانند پارکینسون و آلزایمر استفاده می‌شود. در این روش، ژن‌های خاصی به سلول‌های مغز منتقل می‌شوند تا بتوانند عملکرد سلول‌های عصبی را بهبود بخشند.

۵. **بیماری‌های چشمی:** ژن درمانی برای درمان بیماری‌های چشمی مانند شبکیه و کوررنگی استفاده می‌شود. در این روش، ژن‌های خاصی به سلول‌های چشم منتقل می‌شوند تا بتوانند عملکرد سلول‌های چشمی را بهبود بخشند.

چالش‌ها و محدودیت‌ها:

ایمنی: ایمنی درمان‌های ژنتیکی همچنان یکی از مهم‌ترین مسائل است. برخی از وکتورها می‌توانند واکنش‌های ایمنی غیرمنتظره ایجاد کنند.

هزینه: هزینه‌های بالای برخی درمان‌های ژنتیکی مانع دسترسی بسیاری از بیماران به این درمان‌ها می‌شود.

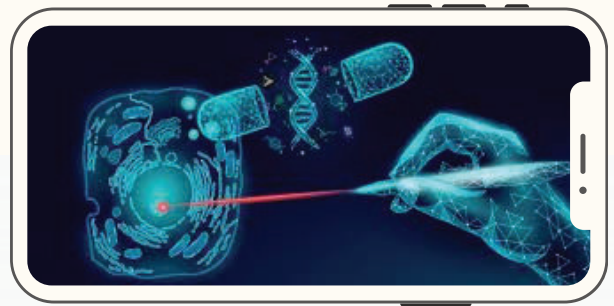
دسترسی: در کشورهای در حال توسعه، دسترسی به تکنولوژی‌های پیشرفته ژن درمانی محدود است.

آینده:

شخصی‌سازی درمان: تکنولوژی‌های ژنومیک و بیوانفورماتیک به شخصی‌سازی درمان‌های ژنتیکی کمک می‌کنند.

ترکیب با تکنولوژی‌های دیگر: ترکیب ژن درمانی با تکنولوژی‌های دیگر مانند نانو تکنولوژی و بیوتکنولوژی به پیشرفت‌های بیشتری منجر خواهد شد. در مجموع، ژن درمانی به عنوان یک روش درمانی پیشرفته و مؤثر در حال رشد است و پتانسیل زیادی برای درمان بیماری‌هایی که در گذشته بدون درمان بودند، دارد.

ژن درمانی در حال حاضر در مرحله پیشرفته‌ای قرار دارد و در چندین سال گذشته، پیشرفت‌های قابل توجهی در این زمینه حاصل شده است. در حال حاضر، ژن درمانی برای درمان بسیاری از بیماری‌ها از جمله برخی از انواع سرطان، بیماری‌های ژنتیکی و بیماری‌های عفونی استفاده می‌شود.



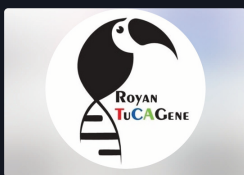


رقابت سخت برای توسعه فناوری های ژن درمانی

نویسنده: نرگس رضانی
دانشجوی کارشناسی ارشد بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران



از شرکت های دانش بنیان که در این حوزه در داخل ایران فعالیت دارند:



• شرکت رویان توکاژن

رویان توکاژن، با تکیه بر تجربه اعضای هیئت علمی پژوهشگاه رویان و دانشگاه علوم پزشکی ایران، که مشغول به فعالیت در زمینه ژنتیک بالینی و زیست شناسی سلولی-مولکولی هستند، در سال ۱۳۹۲ بنیان گذاری شده و از شرکت های وابسته به پژوهشگاه رویان می باشد. اولویت اصلی این شرکت، ارائه خدمات در زمینه های پزشکی مبتنی بر شخص و ژنتیک، ژنومیک، بیوفنورماتیک، تولید داده های اومیکس و بیوتکنولوژی می باشد.

• مرکز رشد زیست فناوری پژوهشگاه ملی مهندسی ژنتیک و زیست فناوری



این شرکت در حوزه ی تحقیقات ژن درمانی و سلول درمانی سرطان فعالیت می کند. تمرکز فعالیت این شرکت بر روی محصولات CIK- NK بوده و تاکنون در درمان نوروبلاستوما، سرطان روده، رحم و سرطان های خون با استفاده از این محصولات فعالیت داشته است. از ماموریت های این مرکز می توان به تلاش در جهت دهی به شرکت ها و موسسات دانش محور فعال در زمینه زیست فناوری، که دارای مزیت نسبی هستند، و ارائه خدمات با ارزش افزوده بالا و توسعه اقتصاد دانش محور اشاره کرد. این شرکت دارای ۶ واحد فناور تنها در زمینه زیست فناوری پزشکی و سلامت می باشد.

• موسسه پزشکی نسل امید



یکی از سه مراکز این موسسه، مرکز تحقیقات ژن درمانی و طب ترمیمی می باشد. این مرکز اقدام به طراحی ۶ فاز مطالعاتی برای ویرایش هدفمند ژن بیماری کمخونی داسی شکل و بتا تالاسمی ماژور به روش CRISPR/Cas9 نموده است.

برای بیماران مبتلا به بیماری های جدی، چالش هایی مانند محدودیت های زندگی روزمره یا کیفیت پایین زندگی می تواند طاقت فرسا باشد. حالا تصور کنید اگر بگویم این وضعیت در حال تغییر است؟ ده سال پیش، گزینه های درمانی Emily Whitehead برای سرطان خون به پایان رسیده بود. به عنوان آخرین راه حل، والدین امیلی با یک درمان آزمایشی که هرگز روی کودکان امتحان نشده بود، موافقت کردند. اکنون، ۱۰ سال بعد، امیلی به لطف CAR-T تراپی، معالجه شده است.

در حال حاضر، حوزه ژن درمانی شاهد رقابت شدیدی است، با وجود چالش های تولید و مقرراتی که همچنان پا بر جا هستند، صنعت درمان های سلولی و ژنی همچنان پتانسیل درمانی قابل توجه و فرصت های تجاری فراوانی را ارائه می دهد. یکی از اولویت های سال ۲۰۲۳ سازمان غذا و دارو (FDA) برای افزایش رشد و پیشرفت در زمینه سلول و ژن درمانی های نوین، جذب صدها دانشمند با استعداد توسط مرکز ارزیابی و تحقیقات بیولوژیک (CBER) بوده است.

فرآیندهای تولید پایدار و قابل تکرار، یکی از عوامل تمایز کلیدی در فضای رقابتی صنعت ژن درمانی به شمار می روند. سازمان FDA پیش بینی می کند که از سال ۲۰۲۰ به بعد، سالانه بیش از ۲۰۰ درخواست IND ثبت خواهد شد و تا سال ۲۰۲۵، هر ساله ۱۰ تا ۲۰ محصول درمانی سلولی و ژنی تأیید می شوند. در حال حاضر، بیش از ۱۰۰۰ آزمایش بالینی در سراسر جهان در حال انجام است و همه این محصولات به خط پایان نخواهند رسید، بلکه تنها برخی به موفقیت تجاری دست خواهند یافت.



MeiraGTx •

شرکت MeiraGTx با استفاده از فناوری پلتفرم تنظیم ژن که امکان کنترل دقیق ژن ها را با مولکول های کوچک فراهم می آورد، به دنبال توسعه درمان هایی برای بیماران مبتلا به انواع بیماری های جدی است. تمرکز اولیه این شرکت بر روی سه زمینه اصلی نیازهای پزشکی برآورده نشده می باشد: بیماری های چشمی، بیماری های Neurodegenerative و اشکال شدید خشکی دهان (خشکی دهان ناشی از پرتو درمانی). این شرکت در حال حاضر شش برنامه در حال توسعه بالینی دارد، از جمله یک مطالعه بالینی فاز ۳ برای رتینیت پیگمنتوزی مرتبط با کروموزوم X- (XLRP)، یک بیماری ژنتیکی غیرقابل درمان که منجر به نابینایی در مردان می شود. از محصولات این شرکت می توان از bota-vec نام برد که برای درمان شایع ترین شکل XLRP طراحی شده است و ناشی از جهش های در فرم ویژه چشمی ژن RPGR به نام RPGR open reading frame 15 است.



Editas Medicine •

شرکت Editas، یک شرکت بیوتکنولوژی تأسیس شده در سال ۲۰۱۳ در استیج بالینی است که در حال توسعه درمان هایی برای بیماری های نادر بر پایه فناوری ویرایش ژنی CRISPR می باشد. دفتر مرکزی Editas در کمبریج، ماساچوست واقع شده است. این شرکت با استفاده از نوکلئاز های CRISPR Cas9 و Cas12a کار می کند. این دو نوکلئاز به این شرکت قابلیت دسترسی به انواع مختلفی از جهش های ژنتیکی را فراهم آورده و به توسعه داروهای ویرایش شده ژنی هدفمند و پایدار کمک می کنند. Editas مأموریت خود را در تبدیل قدرت و پتانسیل ویرایش ژنوم به دسته گسترده ای از داروهای ویرایش ژنی که زندگی افرادی را که با بیماری های جدی زندگی می کنند، تغییر دهد، می داند. این شرکت در حال حاضر در زمینه درمان بیماری های خون و انکولوژی فعالیت می کند. کاندیدای اصلی Editas، درمان ex vivo به نام reni-cel است که برای درمان کم خونی داسی شکل و بتا تالاسمی طراحی شده است. Reni-cel در حال حاضر در مراحل اولیه آزمایش بالینی قرار دارد و شامل سلول های بنیادی و پیش ساز هماتوپوئیتیک CD³⁴ مشتق شده از بیمار است که در پروموتور های ژن گاما گلوبین (HBG1 و HBG2) ویرایش شده اند.



Bluebird Bio •

این شرکت، دهمین شرکت بیوتکنولوژی برتر در سال ۲۰۲۴ است. در سال ۲۰۱۰ تأسیس شده و دفتر مرکزی آن در Massachusetts واقع شده است. Bluebird بیش از یک دهه است که استاندارد های درمان ژنی را تعیین می کند؛ ابتدا به عنوان یک پیشرو علمی و اکنون به عنوان یک رهبر تجاری. این شرکت بیوتکنولوژی، در زمینه ایجاد درمان های ژنی برای اختلالات ژنتیکی شدید و سرطان تخصص دارد. Bluebird سابقه ای بی نظیر در تحقق وعده های ژن درمانی از مطالعات بالینی به دنیای واقعی داشته و در کمتر از دو سال موفق به کسب تأییدیه FDA برای سه درمان شده است که از میان آن ها می توان به Zynteglo و LentiGlobin اشاره کرد. Bluebird Bio تاکنون درمان های خود را به بیش از ۱۷۰ بیمار در قالب هشت آزمایش بالینی ارائه داده است. این شرکت درمان های ژنی برای بیماری های ژنتیکی مانند کم خونی داسی شکل، بتا تالاسمی و آدرنوکودیدسترونی مغزی توسعه می دهد.



4D Molecular Therapeutic •

شرکت 4D Molecular Therapeutics به طراحی، توسعه و تجاری سازی محصولات ژن درمانی تحول آفرین برای شرایط پزشکی جدی و بدون درمان های مؤثر می پردازد. این شرکت و MedImmune (بخش تحقیق و توسعه بیولوژیک جهانی AstraZeneca) با همکاری یکدیگر به طراحی، توسعه و تجاری سازی درمان های ژنی مبتنی بر AAV می پردازند. David Kirn، مدیر عامل و یکی از بنیان گذاران 4DMT در رابطه با این همکاری می گوید: "این همکاری هیجان انگیزی می تواند آغازگر پیشرفت های قابل توجهی در درمان بیماران تنفسی باشد. پیشرفت ما در وکتور های اختصاصی AAV این امکان را فراهم کرده تا از پتانسیل ژن درمانی نهایت استفاده را کرده و با تخصص MedImmune در مهندسی پروتئین، در انتقال ژن اختصاصی به بافت ها و سلول ها از مرزها فراتر رویم."



- [FDA Seeking New Talent to Handle Gene Therapy Rise \(appliedclinicaltrials.com\)](https://www.appliedclinicaltrials.com/news/fda-seeking-new-talent-to-handle-gene-therapy-rise)
- insights.bio/cell-and-gene-therapy-insights/journal/article/1804/Process-development-how-to-win-the-race-in-cell-gene-therapy#:~:text=Robust and reproducible manufacturing processes are a critical differentiator in
- [The Top 25 Biotechnology Companies of 2024 | The Healthcare Technology Report.](https://www.thehealthcaretechnologyreport.com/the-top-25-biotechnology-companies-of-2024)
- [10 gene therapy companies you should know about \(labiatech.eu\)](https://www.labiatech.eu/10-gene-therapy-companies-you-should-know-about)
- [100 top cell and gene therapy companies to watch in 2023 \(drugdiscoverytrends.com\)](https://www.drugdiscoverytrends.com/100-top-cell-and-gene-therapy-companies-to-watch-in-2023)
- [50 leading cell and gene therapy companies | Drug Discovery \(drugdiscoverytrends.com\)](https://www.drugdiscoverytrends.com/50-leading-cell-and-gene-therapy-companies)
- [The Cell And Gene Therapy Sector In 2023: A Wave Is Coming – Are We Ready? :: In Vivo \(citeline.com\)](https://www.citeline.com/the-cell-and-gene-therapy-sector-in-2023-a-wave-is-coming-are-we-ready-2-in-vivo)
- ژن درمانی خاورمیانه - مرکز رشد - پژوهشگاه ملی مهندسی ژنتیک و زیست فناوری (nigeb.ac.ir)

آیا باید در خصوص ژن درمانی نگران باشیم؟

نویسنده: زهرا باقریان

دانشجوی دکتری تخصصی بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران

مقدمه:

با توسعه روزافزون ژن درمانی و ورود آن به عرصه پزشکی شخصی سازی شده، این فناوری نه تنها امیدهای زیادی را برای درمان بیماری های ژنتیکی و سرطان فراهم کرده، بلکه چالش ها و نگرانی های جدی در زمینه اخلاق و دسترسی عمومی نیز به همراه آورده است. این فناوری پتانسیل تغییرات عظیم در ساختار اجتماعی و پزشکی دارد، اما سؤالاتی در خصوص ایمنی، عدالت و تصمیم گیری های اخلاقی مطرح می شود. در این مقاله، به بررسی نگرانی های پیرامون ژن درمانی از منظر ایمنی، دسترسی اجتماعی و مسائل اخلاقی پرداخته خواهد شد.



۲ ایمنی ژن درمانی: چه خطراتی برای بیماران وجود دارد؟

با وجود اینکه ژن درمانی امیدهای زیادی برای درمان بیماری های ژنتیکی و غیرقابل درمان ایجاد کرده است، اما نگرانی های جدی در مورد ایمنی بیماران وجود دارد. یکی از این چالش ها عوارض جانبی پیش بینی نشده است؛ از جمله بروز واکنش های ایمنی شدید در بدن بیمار به ویروس های ناقل ژن، که ممکن است منجر به بروز مشکلات جدی یا حتی مرگ شود. همچنین، یکی از خطرات اصلی، ایجاد جهش های ناخواسته در ژنوم بیمار است که می تواند منجر به مشکلات جدیدی مانند سرطان یا بیماری های غیرقابل پیش بینی دیگر شود. این تغییرات ناخواسته ممکن است نه تنها ژن معیوب را اصلاح نکنند، بلکه مشکلاتی جدید به وجود آورند. برای کاهش این خطرات، نیاز به آزمایش های بالینی گسترده و مطالعات طولانی مدت است تا تمام جنبه های ایمنی بررسی شود و بیماران در برابر عوارض جانبی احتمالی محافظت شوند. علاوه بر این، روش های جدیدی مانند استفاده از ناقل های امن تر یا اصلاح دقیق تر ژنوم می تواند به کاهش این خطرات کمک کند، اما همچنان تحقیقات بیشتری برای تضمین ایمنی کامل لازم است.

۳ مسائل اخلاقی در ویرایش ژن: مرز بین درمان و بهبود غیردرمانی کجاست؟

استفاده از ژن درمانی برای اصلاح ژن های معیوب و درمان بیماری های ژنتیکی به طور گسترده ای در حوزه پزشکی پذیرفته شده است، اما کاربردهای غیردرمانی این فناوری همچنان موضوعی بحث برانگیز است. یکی از سؤالات کلیدی این است که آیا ژن درمانی باید تنها برای درمان بیماری ها استفاده شود، یا اینکه می توان از آن برای بهبود توانایی های انسانی مانند افزایش هوش، بهبود توانایی های ورزشی، یا حتی تغییر ویژگی های ظاهری استفاده کرد. این مسائل اخلاقی نگرانی های بزرگی ایجاد کرده است، چرا که ممکن است منجر به ایجاد جامعه ای نابرابر شود، جایی که افرادی با ژن های بهبود یافته نسبت به دیگران برتری پیدا کنند. همچنین، این احتمال وجود دارد که برخی از این تغییرات برای اهداف تجاری یا اجتماعی مورد سوءاستفاده قرار گیرند. برای جلوگیری از سوءاستفاده های احتمالی، ضروری است که مرزهای اخلاقی مشخص شوند و قوانین و مقررات سخت گیرانه ای در مورد نحوه استفاده از ژن درمانی وضع شود تا اطمینان حاصل شود که این فناوری به نفع همه جامعه و نه صرفاً برای گروه های خاص مورد استفاده قرار گیرد.

۴ تأثیر ژن درمانی بر نسل های آینده: آیا باید نگران تغییرات ارثی باشیم؟

یکی از چالش های عمده ژن درمانی، تأثیرات احتمالی بر نسل های آینده است. زمانی که تغییرات ژنتیکی در سلول های جنسی (تخمک و اسپرم) یا در جنین های اولیه انجام شود، این تغییرات می توانند به طور دائم به نسل های بعدی منتقل شوند. اگرچه هدف از ژن درمانی، اصلاح ژن های معیوب و جلوگیری از بیماری های ژنتیکی است، اما خطرات ناشی از عوارض غیرمنتظره وجود دارد، مانند بروز جهش های ناخواسته که می توانند مشکلات جدیدی ایجاد کنند. این تغییرات ممکن است برای نسل های آینده نتایج ناشناخته ای به همراه داشته باشد که کنترل و جبران آنها ممکن نیست. به همین دلیل، بسیاری از محققان و متخصصان اخلاق زیستی بر ضرورت نظارت دقیق و کنترل های اخلاقی سختگیرانه در این حوزه تأکید دارند تا از اثرات نامطلوب و غیرقابل بازگشت جلوگیری شود.

۱ عدالت در دسترسی به ژن درمانی: آیا همه به یک اندازه بهره مند خواهند شد؟

یکی از مهم ترین چالش ها در گسترش ژن درمانی، موضوع دسترسی عادلانه به این درمان ها است. هزینه های بالای توسعه و ارائه این روش های پیشرفته باعث شده که در حال حاضر فقط افراد در کشورهای توسعه یافته و طبقات مرفه قادر به استفاده از این فناوری باشند. برای مثال، درمان های ژنی که در حال حاضر برای برخی بیماری های نادر عرضه شده اند، هزینه هایی بالغ بر میلیون ها دلار دارند. این امر می تواند باعث شود که طبقات کم درآمد و کشورهای در حال توسعه از این فناوری محروم شوند و نابرابری های درمانی افزایش یابد. علاوه بر هزینه، زیرساخت های لازم برای انجام ژن درمانی مانند آزمایشگاه های پیشرفته و تجهیزات تخصصی ممکن است در بسیاری از نقاط جهان موجود نباشد، که این خود به شکاف بیشتری میان کشورها و طبقات مختلف منجر می شود. برای رفع این چالش ها، لازم است سیستم های حمایتی مانند یارانه های دولتی، بیمه های جامع و برنامه های بین المللی برای تامین مالی و دسترسی به این فناوری ها ایجاد شوند. همچنین، با توسعه تکنولوژی های ارزان تر و ساده تر، ژن درمانی می تواند به تدریج برای همه طبقات اجتماعی و کشورهای در حال توسعه نیز قابل دسترس شود، که این به کاهش نابرابری های جهانی در حوزه بهداشت و درمان کمک خواهد کرد.



تنظیم قوانین و استانداردهای جهانی: آیا قوانین کافی برای کنترل ژن درمانی وجود دارد؟



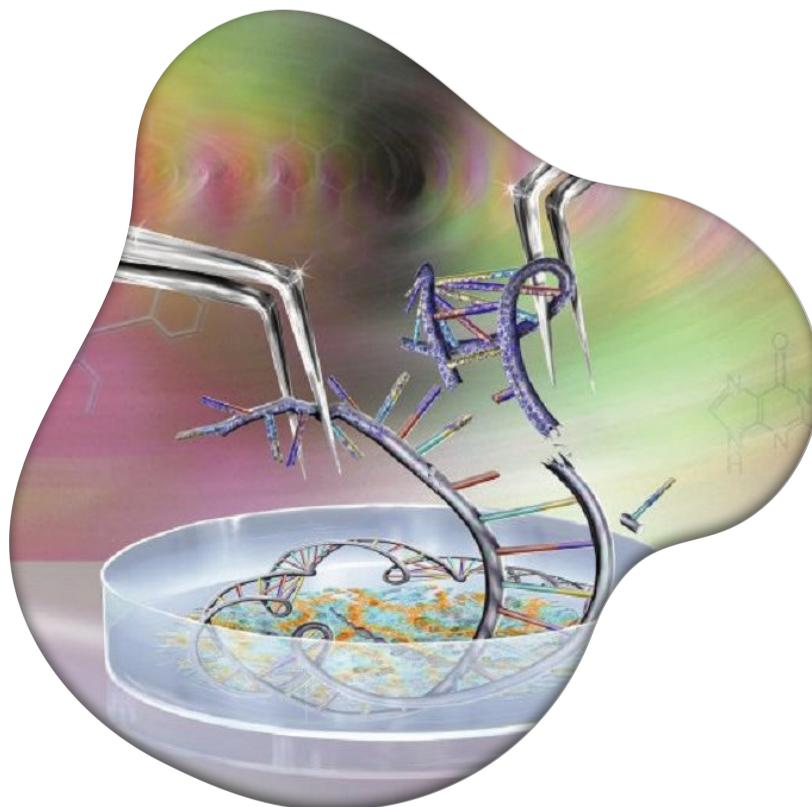
مسئولیت پذیری در استفاده از ژن درمانی: چه کسی تصمیم می گیرد؟

یکی از سوالات پیچیده و مهم در مورد ژن درمانی، این است که تصمیم گیری در مورد استفاده از این فناوری باید توسط چه کسانی انجام شود. پزشکان به دلیل دانش تخصصی و بالینی خود می توانند بهترین انتخاب ها را پیشنهاد دهند، اما حق تصمیم گیری نهایی آیا باید در دست آنها باشد یا بیماران و خانواده هایشان؟ رضایت آگاهانه بیماران در این فرآیند حیاتی است، زیرا تغییرات ژنتیکی می تواند تأثیرات دائمی و حتی بین نسلی داشته باشد. همچنین، سیاست گذاران و دولت ها نقش مهمی در تنظیم استانداردهای اخلاقی و قانونی ایفا می کنند تا از سوء استفاده های احتمالی جلوگیری شود. بنابراین، همکاری بین المللی بین پزشکان، بیماران، و سیاست گذاران برای تعیین مسئولیت ها و نقش ها ضروری است تا فرآیند ژن درمانی با دقت و اخلاق انجام شود.

با وجود پتانسیل بالای ژن درمانی، چارچوب های قانونی و نظارتی در بسیاری از کشورها هنوز به طور کامل توسعه نیافته اند. این خلأ قانونی می تواند منجر به سوء استفاده های علمی و اجتماعی شود، به ویژه در زمینه هایی مانند بهبودهای غیرضروری یا ویرایش ژن های جنینی که ممکن است بدون نظارت کافی انجام شود. در برخی کشورها، قوانین محدود کننده و سختگیرانه ای برای جلوگیری از چنین مواردی وجود دارد، در حالی که کشورهای دیگر ممکن است فاقد این استانداردهای نظارتی باشند. برای جلوگیری از استفاده های نادرست و تضمین ایمنی و عدالت در دسترسی به این فناوری، همکاری های بین المللی ضروری است تا قوانین و مقررات جهانی جامع و یکپارچه تدوین شود. این قوانین باید به نحوی طراحی شوند که علاوه بر پیشرفت علمی، به مسائل اخلاقی و حفظ حقوق بشر نیز توجه ویژه ای داشته باشند.

نتیجه گیری :

با وجود پیشرفت های چشمگیر ژن درمانی و امیدهایی که این فناوری برای درمان بیماری های ژنتیکی و سرطان به ارمغان آورده است، همچنان چالش های اخلاقی، ایمنی و دسترسی عمومی به این فناوری پابرجاست. برای اینکه ژن درمانی به ابزاری موثر و قابل اعتماد تبدیل شود، نیاز به نظارت های دقیق، استانداردهای بین المللی و بررسی های اخلاقی جامع داریم. این مسائل نه تنها برای ایمنی بیماران اهمیت دارد، بلکه می تواند نقش مهمی در جلوگیری از سوء استفاده های اجتماعی و علمی ایفا کند. با توجه به این مسائل، ژن درمانی می تواند تحولی بزرگ در پزشکی شخصی سازی شده ایجاد کند و راه را برای درمان هایی کارآمدتر و عادلانه تر هموار سازد.



ژن درمانی در ایران: از چالش‌های ایمنی تا افق‌های پیشرفت در گفت و گو با دکتر بابک نگاهداری



تهیه کننده: جواد یغموریان خوجینی
دانشجوی دکتری تخصصی بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران

در این شماره، گفت‌وگوی صمیمانه‌ای داشته‌ایم با دکتر بابک نگاهداری، رئیس مرکز پژوهش‌های مجلس شورای اسلامی و استاد و مدیر گروه بیوتکنولوژی دانشگاه علوم پزشکی تهران. ایشان دارای دکترای تخصصی بیوتکنولوژی پزشکی و دکترای حرفه‌ای پزشکی از دانشگاه علوم پزشکی تهران هستند و از چهره‌های برجسته در حوزه سیاست‌گذاری علم و فناوری و توسعه زیست‌فناوری پزشکی در کشور به شمار می‌روند.

سؤال ۱



در حالی که امیدهای زیادی برای ژن‌درمانی وجود دارد، نگرانی‌های زیادی نیز در مورد ایجاد جهش‌های ناخواسته در DNA یا افزایش خطر سرطان مطرح شده است. چگونه می‌توانیم از بروز چنین خطراتی جلوگیری کنیم و آیا تکنولوژی‌های فعلی به اندازه کافی ایمن هستند؟

ژن‌درمانی به عنوان روشی نوین در درمان بیماری‌های ژنتیکی و سرطان، امیدهای بسیاری را ایجاد کرده است. با این حال، نگرانی‌هایی درباره ایجاد جهش‌های ناخواسته در DNA و افزایش خطر سرطان وجود دارد. برای کاهش این خطرات و افزایش ایمنی ژن‌درمانی، اقدامات متعددی در حال انجام است. محققان در حال بهبود سیستم‌های ویرایش ژن مانند CRISPR/Cas9 هستند تا دقت ویرایش ژن‌ها افزایش یابد و احتمال ایجاد جهش‌های خارج از هدف کاهش یابد. همچنین، استفاده از ناقل‌های ویروسی اصلاح‌شده که توانایی ایجاد بیماری را ندارند، به عنوان حامل‌های ژن‌های درمانی مورد توجه قرار گرفته است. پایش مستمر بیماران پس از ژن‌درمانی برای شناسایی زود هنگام هرگونه عوارض جانبی یا تغییرات ناخواسته در DNA نیز ضروری است. علاوه بر این، استفاده از الگوریتم‌های هوش مصنوعی می‌تواند به تحلیل دقیق‌تر داده‌های ژنتیکی و طراحی درمان‌های متناسب با ویژگی‌های هر بیمار کمک کند، که این امر می‌تواند به کاهش خطرات مرتبط با ژن‌درمانی منجر شود. پیش از استفاده گسترده از روش‌های ژن‌درمانی، انجام مطالعات بالینی جامع برای ارزیابی ایمنی و کارایی آن‌ها نیز ضروری است. با وجود پیشرفت‌های قابل توجه در این حوزه، همچنان تحقیقات بیشتری برای اطمینان از ایمنی کامل ژن‌درمانی مورد نیاز است. تکنولوژی‌های فعلی امیدوارکننده هستند، اما برای کاهش هرچه بیشتر خطرات، به بهبودهای مستمر نیاز دارند.

سؤال ۲



هزینه‌های ژن‌درمانی بسیار بالاست و بسیاری از بیماران به این روش دسترسی ندارند. آیا ژن‌درمانی به یک درمان فقط برای افراد ثروتمند تبدیل نخواهد شد؟ چگونه می‌توان عدالت دسترسی به این تکنولوژی را تضمین کرد؟

هزینه‌های بالای ژن‌درمانی، که در برخی موارد به میلیون‌ها دلار می‌رسد، دسترسی بسیاری از بیماران به این روش درمانی را محدود کرده و نگرانی‌هایی را درباره تبدیل شدن آن به درمانی مختص افراد ثروتمند ایجاد کرده است. برای تضمین عدالت دسترسی به این فناوری، اقدامات متعددی می‌تواند مؤثر باشد. تدوین سیاست‌هایی که هزینه‌های ژن‌درمانی را کاهش داده و آن را تحت پوشش بیمه قرار دهد، می‌تواند به افزایش دسترسی بیماران کمک کند. حمایت از پژوهش‌های داخلی در زمینه ژن‌درمانی نیز می‌تواند به تولید نسخه‌های بومی و مقرون به صرفه‌تر این درمان‌ها منجر شود. علاوه بر این، ایجاد مراکز تخصصی در کشور، مانند اولین مرکز تحقیقاتی ژن‌درمانی و طب ترمیمی در ایران، می‌تواند به ارتقای دسترسی بیماران به این فناوری کمک کند. مشارکت با نهادهای بین‌المللی و استفاده از تجربیات آن‌ها نیز می‌تواند به انتقال دانش و کاهش هزینه‌ها منجر شود. در نهایت، تدوین راهبردهای ملی برای توسعه فناوری‌های نوین پزشکی و تضمین دسترسی عادلانه به آن‌ها ضروری است.

با اجرای این اقدامات، می‌توان به عدالت دسترسی به ژن‌درمانی نزدیک‌تر شد و از تبدیل شدن آن به درمانی مختص افراد ثروتمند جلوگیری کرد.

سؤال ۳



با توجه به مسوولیت‌هایی که شما داشتید و دارید پر بی راه نیست آگه بپرسیم کشور ما ایران در زمینه ژن درمانی چه اهداف و برنامه ای داره و چه سرمایه گذاری هایی در این زمینه انجام داده است؟



ایران در حوزه ژن‌درمانی اهداف و برنامه‌های متعددی را دنبال می‌کند که شامل توسعه پژوهش‌های علمی، ایجاد زیرساخت‌های تحقیقاتی و تشویق به سرمایه‌گذاری در این زمینه است.

یکی از گام‌های مهم در این راستا، افتتاح اولین مرکز تحقیقاتی ژن‌درمانی و طب ترمیمی در بخش خصوصی است که با هدف تأمین سلامت نسل آینده از طریق تشخیص، پیشگیری و درمان بیماری‌ها با بهره‌گیری از پیشرفته‌ترین تکنولوژی‌ها تأسیس شده است.

علاوه بر این، بنیاد ملی علم ایران با همکاری ستادهای توسعه زیست‌فناوری و فناوری‌های پزشکی بازساختی و سلول‌های بنیادی، فراخوانی برای شتاب‌دهی به پژوهش‌های حوزه ژن‌درمانی اعلام کرده است. این فراخوان از پژوهشگران در سه سطح پژوهش‌های توسعه‌ای، طرح‌های پسادکتری و رساله‌های دکتری حمایت می‌کند تا تحقیقات در این حوزه تسریع شود.

با این حال، برخی کارشناسان به موانع سرمایه‌گذاری در پروژه‌های ژن‌درمانی اشاره کرده و تأکید دارند که با رفع این موانع، می‌توان به اجرای کامل پروژه‌های فناورانه در این حوزه دست یافت.

در مجموع، ایران با تدوین برنامه‌های راهبردی و سرمایه‌گذاری در حوزه ژن‌درمانی، در تلاش است تا به توسعه این فناوری پیشرفته دست یابد و از آن برای بهبود سلامت جامعه بهره‌برداری کند.





سؤال ۴



با وجود پتانسیل بالای ژن درمانی، از نظر شما چه چالش‌های اساسی در کشور با آن مواجه هستیم که مانع پیشرفت محسوس در این زمینه میشوند؟ برای رفع آن‌ها چه همت و اقداماتی را می‌طلبید؟

با وجود پتانسیل بالای ژن درمانی در ایران، چالش‌های متعددی مانع پیشرفت محسوس در این حوزه می‌شوند. یکی از مهم‌ترین این چالش‌ها، هزینه بالای محصولات ژن درمانی است که فراوری گران‌قیمت آن‌ها، دسترسی بیماران را محدود می‌کند. علاوه بر این، کمبود حمایت‌های مالی و زیرساختی در مراکز دولتی و تحقیقاتی، پیشبرد پروژه‌های ژن درمانی را با مشکلاتی مواجه کرده است. برای رفع این موانع، کاهش هزینه‌های تولید، افزایش حمایت‌های دولتی، تشویق سرمایه‌گذاری بخش خصوصی، توسعه آموزش و پژوهش، و تدوین سیاست‌های حمایتی ضروری است. با اجرای این اقدامات و همت جمعی، می‌توان بر چالش‌های موجود فائق آمد و پیشرفت‌های قابل توجهی در زمینه ژن درمانی در کشور حاصل کرد.

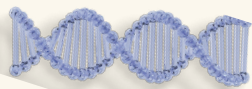
در خصوص مسائل اخلاقی مرتبط با ژن درمانی چه دیدگاهی دارید؟ چگونه می‌توان میان نوآوری و رعایت اصول اخلاقی تعادل برقرار کرد؟

سؤال ۵



ژن درمانی به عنوان یکی از پیشرفته‌ترین فناوری‌های پزشکی، مسائل اخلاقی متعددی را مطرح می‌کند که نیازمند توجه و بررسی دقیق هستند. یکی از این مسائل، نگرانی از استفاده نادرست از این فناوری برای بهبود ویژگی‌های غیرپزشکی مانند افزایش قد، هوش یا توانایی‌های ورزشی است که می‌تواند به تبعیض و نابرابری‌های اجتماعی منجر شود. همچنین، هزینه‌های بالای ژن درمانی ممکن است دسترسی به این روش‌ها را محدود کرده و تنها برای اقشار مرفه جامعه قابل استفاده باشد که این امر با اصول عدالت در بهداشت و درمان در تضاد است. برای برقراری تعادل میان نوآوری و رعایت اصول اخلاقی، تدوین چارچوب‌های قانونی و اخلاقی جامع ضروری است تا از سوءاستفاده‌های احتمالی جلوگیری شود و دسترسی عادلانه به این فناوری فراهم آید. همچنین، آموزش و آگاهی بخشی به جامعه در مورد مزایا و مخاطرات ژن درمانی می‌تواند به درک بهتر و پذیرش مسئولانه این فناوری کمک کند.

سؤال ۶



به نظر شما، در زمینه ژن درمانی چه نقشی می‌توانیم برای بخش خصوصی و سرمایه‌گذاری‌های غیردولتی در کشور قائل شویم؟ آیا این بخش می‌تواند به توسعه سریع‌تر و گسترده‌تر این حوزه کمک کند؟

بخش خصوصی و سرمایه‌گذاری‌های غیردولتی نقش حیاتی در توسعه سریع‌تر و گسترده‌تر ژن درمانی در کشور ایفا می‌کنند. سرمایه‌گذاری‌های خصوصی می‌توانند با تأمین منابع مالی لازم، تسریع در تحقیقات و توسعه محصولات جدید را ممکن سازند. همچنین، حمایت‌های بخش خصوصی می‌تواند به کاهش وابستگی کشور به واردات داروهای ژن درمانی و افزایش خودکفایی در این زمینه منجر شود. این حمایت‌ها می‌تواند به تولید داروهای حیاتی و کاهش وابستگی به واردات کمک کند.

با توجه به پتانسیل بالای ژن درمانی در ایجاد درآمد ارزی، سرمایه‌گذاری در این حوزه می‌تواند به رونق اقتصادی کشور و کاهش وابستگی به منابع طبیعی مانند نفت منجر شود. این حوزه می‌تواند در آینده به اندازه فروش نفت درآمدزایی داشته باشد. در نتیجه، بخش خصوصی با تأمین منابع مالی، مشارکت در تحقیقات و توسعه، و کاهش وابستگی به واردات، می‌تواند به توسعه سریع‌تر و گسترده‌تر ژن درمانی در کشور کمک کند.





از ژن تا سلامت:

داستان موفقیت ژن درمانی در پزشکی شخصی سازی شده

نویسنده: جواد یغموریان خوجینی
(دانشجوی دکتری تخصصی بیوتکنولوژی پزشکی دانشگاه علوم پزشکی تهران)

مقدمه:

پزشکی شخصی سازی شده، یکی از هیجان انگیزترین تحولات علمی و پزشکی عصر حاضر، به دنبال ارائه درمان هایی است که به نیازها و ویژگی های منحصر به فرد هر شخص پاسخ دهد. یکی از پیشگامان این تحول، ژن درمانی است؛ روشی که با تغییر یا ترمیم ژن های معیوب، مشکلات اساسی در سطح ژنتیکی را هدف قرار می دهد و سلامت را به طور اساسی بازسازی می کند. در این قسمت به بررسی داستان موفقیت ژن درمانی، از کشف و توسعه آن تا کاربردهای گسترده اش در درمان بیماری های مختلف و بهبود زندگی بیماران پرداخته خواهد شد.

۱) تاریخچه ژن درمانی: از آغاز تا پزشکی شخصی سازی شده

پزشکی شخصی سازی شده به دنبال ارائه درمان های دقیق و متناسب با نیازهای ژنتیکی و محیطی هر بیمار است و ژن درمانی به عنوان یکی از پایه های اساسی این رویکرد نقش کلیدی ایفا کرده است. مفهوم ژن درمانی برای اولین بار در دهه ۱۹۷۰ مطرح شد، هنگامی که دانشمندان به نقش اساسی ژن ها در بروز بیماری های ژنتیکی پی بردند. در سال ۱۹۹۰، نخستین موفقیت ژن درمانی روی یک بیمار مبتلا به نقص سیستم ایمنی ترکیبی شدید (SCID) انجام شد که نقطه عطفی در تاریخ این حوزه بود. با این حال، ژن درمانی در آغاز با چالش های زیادی مواجه بود؛ از جمله مشکلات ایمنی، دشواری در انتقال دقیق ژن ها به سلول های هدف، و پاسخ های ایمنی غیرمنتظره.

با پیشرفت های علمی و توسعه تکنیک های پیشرفته مانند استفاده از وکتورهای ویروسی اصلاح شده و سیستم های ویرایش ژنوم نظیر CRISPR، ژن درمانی به تدریج توانست به عنوان یک روش قابل اعتماد و مؤثر برای درمان بیماری های ژنتیکی مختلف معرفی شود. امروز، این فناوری در قلب پزشکی شخصی سازی شده قرار دارد و به پزشکان اجازه می دهد تا با تحلیل دقیق پروفایل ژنتیکی هر بیمار، درمان هایی را طراحی کنند که دقیقاً بر اساس نیازها و شرایط ژنتیکی و زیستی فرد باشد. این امر نه تنها باعث افزایش کارایی درمان ها می شود، بلکه عوارض جانبی را نیز به شدت کاهش می دهد، چرا که به جای استفاده از روش های عمومی و یکسان برای همه، درمان ها بر اساس تفاوت های فردی و ژنتیکی طراحی می شوند.

در سال های اخیر، کاربرد ژن درمانی از بیماری های نادر ژنتیکی فراتر رفته و اکنون در درمان سرطان ها، بیماری های قلبی و عروقی، و حتی بیماری های عصبی مورد استفاده قرار می گیرد. با پیشرفت های مداوم، آینده ژن درمانی نویدبخش دورانی است که در آن هر فرد می تواند درمانی کاملاً اختصاصی و متناسب با ویژگی های ژنتیکی خود دریافت کند، و این موضوع دنیای پزشکی را به طور کلی متحول خواهد کرد.

۲) پایه های علمی ژن درمانی: ابزار اصلی پزشکی شخصی سازی شده

ژن درمانی به عنوان یکی از پیشرفته ترین و نوآورانه ترین روش های پزشکی شخصی سازی شده، بر اساس دانش دقیق از ژنوم انسان و عملکرد ژن ها عمل می کند. این روش به جای درمان علائم بیماری ها، با دستکاری ژنتیکی به طور مستقیم به ریشه های بیماری های ژنتیکی می پردازد. هر فرد دارای مجموعه ای از ژن ها است که ممکن است به شیوه ای متفاوت به بیماری ها واکنش نشان دهند و همین تفاوت های ژنتیکی باعث شده که درمان های عمومی برای همه بیماران مؤثر نباشد. ژن درمانی این امکان را فراهم کرده که ژن های معیوب در هر فرد شناسایی و اصلاح شوند، به طوری که به جای رویکردهای درمانی یکسان برای همه، درمان ها کاملاً اختصاصی و فردمحور باشد.

تکنولوژی های پیشرفته ای همچون CRISPR-Cas9، TALEN و ZFN به عنوان ابزارهای کلیدی ژن درمانی وارد عرصه شده اند که دقت بالایی در اصلاح ژنتیکی دارند. این فناوری ها به پژوهشگران این امکان را می دهند که بخش های معیوب DNA را با دقت تغییر دهند و ژن های سالم را جایگزین آن ها کنند.

در پزشکی شخصی سازی شده، استفاده از این تکنیک ها به پزشکان کمک می کند تا برای هر بیمار بر اساس پروفایل ژنتیکی خاص خود، درمان های مختص به فرد طراحی کنند، و این امر شانس موفقیت درمان را به شدت افزایش داده و عوارض جانبی را کاهش می دهد.

علاوه بر این، ژن درمانی با وارد کردن ژن های جدید یا اصلاح ژن های موجود، قادر به مقابله با طیف وسیعی از بیماری ها از جمله بیماری های ارثی، سرطان و حتی برخی از اختلالات عصبی شده است. استفاده از حامل های ویروسی (وکتورها) برای انتقال ژن های اصلاح شده به سلول های هدف یکی دیگر از پایه های مهم ژن درمانی است. این تکنیک ها، نه تنها از نظر علمی تحولی بزرگ محسوب می شوند، بلکه در راستای اهداف پزشکی شخصی سازی شده به بهبود سلامت و کیفیت زندگی بیماران کمک شایانی کرده اند و در آینده نیز احتمالاً دامنه وسیع تری از بیماری ها تحت درمان های شخصی سازی شده با ژن درمانی قرار خواهند گرفت.

۳) کاربردهای ژن درمانی در بیماری های ارثی: پزشکی شخصی سازی شده در قلب درمان ها

بیماری های ارثی از دیرباز یکی از بزرگترین چالش های پزشکی بوده اند؛ چرا که این بیماری ها ناشی از تغییرات ژنتیکی منحصر به فرد در هر بیمار هستند و درمان های سنتی معمولاً نمی توانند به صورت دقیق به این مشکلات بپردازند. ژن درمانی با شناسایی و هدف قرار دادن دقیق ژن های معیوب، تحولی در درمان این بیماری ها ایجاد کرده است. این فناوری به پزشکان این امکان را می دهد که درمان های کاملاً اختصاصی و متناسب با وضعیت ژنتیکی هر فرد طراحی کنند.

برای مثال، در بیماری های جدی و ناتوان کننده ای مانند دیستروفی عضلانی دوشن یا فیبروز کیستیک، که هر کدام ناشی از نقص در ژن های مشخصی هستند، ژن درمانی می تواند مستقیماً به اصلاح این نقص ها بپردازد. این روش شامل وارد کردن نسخه های سالم از ژن های معیوب به سلول های بیمار است، که به نوبه خود می تواند از پیشرفت بیماری جلوگیری کرده یا علائم آن را کاهش دهد. پزشکی شخصی سازی شده در اینجا نقش ویژه ای ایفا می کند، زیرا برای هر بیمار بر اساس ویژگی های ژنتیکی خاص او یک برنامه درمانی منحصر به فرد طراحی می شود.



این امر نه تنها باعث بهبود چشمگیر نتایج درمانی می شود، بلکه احتمال بروز عوارض جانبی ناشی از درمان های عمومی را نیز کاهش می دهد. در نهایت، این رویکرد ژن درمانی نویدبخش بهبود کیفیت زندگی بیماران مبتلا به بیماری های ارثی است و در آینده می تواند به درمان های نجات دهنده و مؤثر برای بسیاری از این بیماری ها منجر شود.

۴) ژن درمانی و سرطان: مبارزه شخصی با ژنتیک تومور

سرطان یکی از پیچیده ترین بیماری ها از نظر ژنتیکی است؛ زیرا هر نوع سرطان و حتی هر بیمار، مجموعه ای خاص از جهش های ژنتیکی را در تومورهای خود دارد که رفتار و نحوه پیشرفت بیماری را تعیین می کند. در پزشکی شخصی سازی شده، ژن درمانی با تمرکز بر این تفاوت های ژنتیکی، به شناسایی و هدف قرار دادن دقیق جهش های موجود در ژنوم تومور می پردازد. به جای استفاده از روش های مرسوم و غیرمستقیم مانند شیمی درمانی یا پرتودرمانی که علاوه بر تومور به بافت های سالم هم آسیب می رسانند، ژن درمانی می تواند به طور خاص ژن های جهش یافته ای را که به رشد تومور منجر می شوند، هدف قرار دهد. این رویکرد درمان های بسیار دقیق تری را ممکن می سازد، به طوری که تنها سلول های سرطانی هدف قرار می گیرند و تأثیرات مخرب روی بافت های سالم به حداقل می رسد.

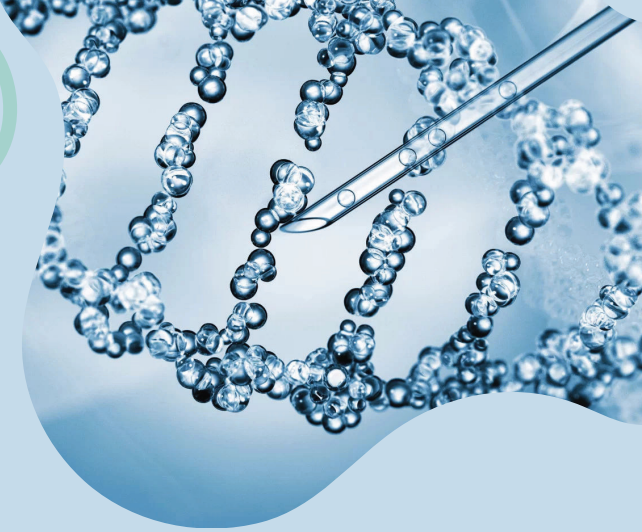
به عنوان مثال، در سرطان هایی مانند ملانوما و سرطان ریه، ژن درمانی می تواند به طور خاص جهش های ژنی مرتبط با رشد تومور (مانند جهش در ژن BRAF) را شناسایی کرده و با اصلاح یا مسدود کردن آن ها، رشد سرطان را مهار کند.

علاوه بر این، استفاده از حامل های ویروسی برای انتقال ژن های درمانی به سلول های سرطانی، امکان تغییر رفتار تومور و حتی تحریک سیستم ایمنی برای حمله به سلول های سرطانی را فراهم کرده است. ژن درمانی در زمینه سرطان، به عنوان یک رویکرد هدفمند و با دقت بالا، می تواند نتایج درمانی را بهبود بخشد، عوارض جانبی را کاهش دهد و در نهایت کیفیت زندگی بیماران را بهبود بخشد.

۵) ژن درمانی و آینده پزشکی شخصی سازی شده: رویکردهای نوین در طراحی درمان های فردی

آینده پزشکی شخصی سازی شده با شتاب به سمت استفاده گسترده از ژن درمانی برای طراحی درمان های فردی در حال حرکت است. در این چشم انداز، درمان های عمومی و یکسان جای خود را به رویکردهای درمانی اختصاصی و متناسب با ویژگی های ژنتیکی هر بیمار خواهند داد. این بدان معناست که هر فرد بر اساس پروفایل ژنتیکی خود، نه تنها برای بیماری های نادر و ژنتیکی، بلکه برای بیماری های شایع و پیچیده ای مانند دیابت، بیماری های قلبی، و حتی اختلالات عصبی، درمانی متناسب با ویژگی های ژنتیکی و محیطی خود دریافت خواهد کرد.

در این رویکرد نوین، ابزارهای ویرایش ژن مانند CRISPR و تکنولوژی های جدید انتقال ژن، به پزشکان این امکان را می دهند که به طور مستقیم به اصلاح و بهبود ژن های خاص هر بیمار بپردازند و درمان هایی را طراحی کنند که به مراتب مؤثرتر و با عوارض جانبی کمتر نسبت به روش های سنتی باشند.



آینده پزشکی شخصی سازی شده به گونه ای پیش می رود که این چالش ها با نوآوری های علمی و بحث های اخلاقی متعادل شود، و این فناوری ها به روش هایی مطمئن، مؤثر، و قابل دسترس تبدیل شوند.

۷) موفقیت های بالینی و تجربی ژن درمانی در پزشکی شخصی سازی شده: تحولی در درمان های فردی

ژن درمانی با دستاوردهای قابل توجه در مطالعات بالینی و آزمایشگاهی، چشم انداز پزشکی را به طور بنیادین متحول کرده است. یکی از بزرگ ترین موفقیت ها، درمان بیماری های ژنتیکی نادر مانند آمیوتروفیک لترال اسکلوئزیس (ALS) و آدرنال لوکودیستروفي بوده که بیماران مبتلا به این بیماری ها تا پیش از این، درمان های مؤثری در دسترس نداشتند. همچنین، ژن درمانی به موفقیت های قابل توجهی در درمان سرطان های مقاوم به درمان، مانند لوسمی حاد لنفوبلاستیک (ALL) رسیده است، که در آن ژن های خاص سلول های سرطانی هدف قرار می گیرند و اصلاح می شوند.

این دستاوردها نه تنها نویدبخش درمان بیماری های نادر بوده، بلکه نشان دهنده پتانسیل وسیع ژن درمانی در آینده است. در واقع، این موفقیت ها نمایانگر این هستند که ژن درمانی می تواند به زودی برای درمان طیف وسیعی از بیماری ها، از دیابت گرفته تا بیماری های قلبی و حتی بیماری های عصبی، به کار گرفته شود. مطالعات نشان می دهند که این روش می تواند با دقت و کارایی بالاتر، درمان های استاندارد را پشت سر گذاشته و به جایگزینی مطمئن تبدیل شود.

تجربیات موفقیت آمیز در زمینه ژن درمانی، در حال آماده سازی راه برای بهبود درمان های شخصی سازی شده در آینده هستند. این درمان ها نه تنها به کاهش عوارض جانبی کمک می کنند، بلکه بهبود کیفیت زندگی بیماران و افزایش شانس بهبودی آنان را نیز به همراه دارند.

۸) امنیت و اخلاق در ژن درمانی: چالش های پزشکی شخصی سازی شده

که قابلیت انتقال به نسل های بعدی را دارند، مطرح شده است. آیا ما حق داریم تغییرات ژنتیکی در افراد ایجاد کنیم که ممکن است بر نسل های آینده تأثیر بگذارد؟ همچنین، پرسش هایی درباره دسترسی عادلانه به این نوع درمان های پیشرفته مطرح است؛ آیا فقط برخی افراد خاص می توانند از این روش های درمانی بهره مند شوند یا اینکه باید به صورت عمومی در دسترس همگان قرار گیرد؟

با این وجود، فرصت های بی نظیر ژن درمانی غیرقابل انکار است. این روش ها امکان شناسایی و اصلاح دقیق جهش های ژنتیکی هر بیمار را فراهم می کنند، به طوری که درمان ها کاملاً متناسب با نیازهای فردی طراحی شوند. این امر نه تنها به نتایج بهتر در درمان بیماری ها منجر می شود، بلکه می تواند به کاهش عوارض جانبی و افزایش کیفیت زندگی بیماران کمک کند. آینده پزشکی شخصی سازی شده به گونه ای پیش می رود که این چالش ها با نوآوری های علمی و بحث های اخلاقی متعادل شود، و این فناوری ها به روش هایی مطمئن، مؤثر، و قابل دسترس تبدیل شوند.

برای مثال، در آینده ممکن است بیماران قلبی بتوانند با استفاده از ژن درمانی، عملکرد قلب خود را بهبود بخشند یا افرادی که در معرض ابتلا به دیابت نوع ۲ قرار دارند، از طریق ژن درمانی پیشگیرانه از بروز بیماری جلوگیری کنند.

این پیشرفت ها نه تنها به بهبود نتایج بالینی منجر می شوند، بلکه با شخصی سازی درمان ها، روند درمان بسیار کارآمدتر و مقرون به صرفه تر خواهد شد. پزشکی آینده با بهره گیری از ژن درمانی، درمان هایی فراهم می آورد که به جای یک رویکرد عمومی و کلی، با دقت و ظرافت به رفع نیازهای بیولوژیکی منحصر به فرد هر بیمار می پردازند، و این می تواند راه را برای تحول چشمگیر در نظام سلامت جهانی هموار کند.

۹) چالش ها و فرصت های ژن درمانی در پزشکی شخصی سازی شده: از دقت علمی تا تصمیمات اخلاقی

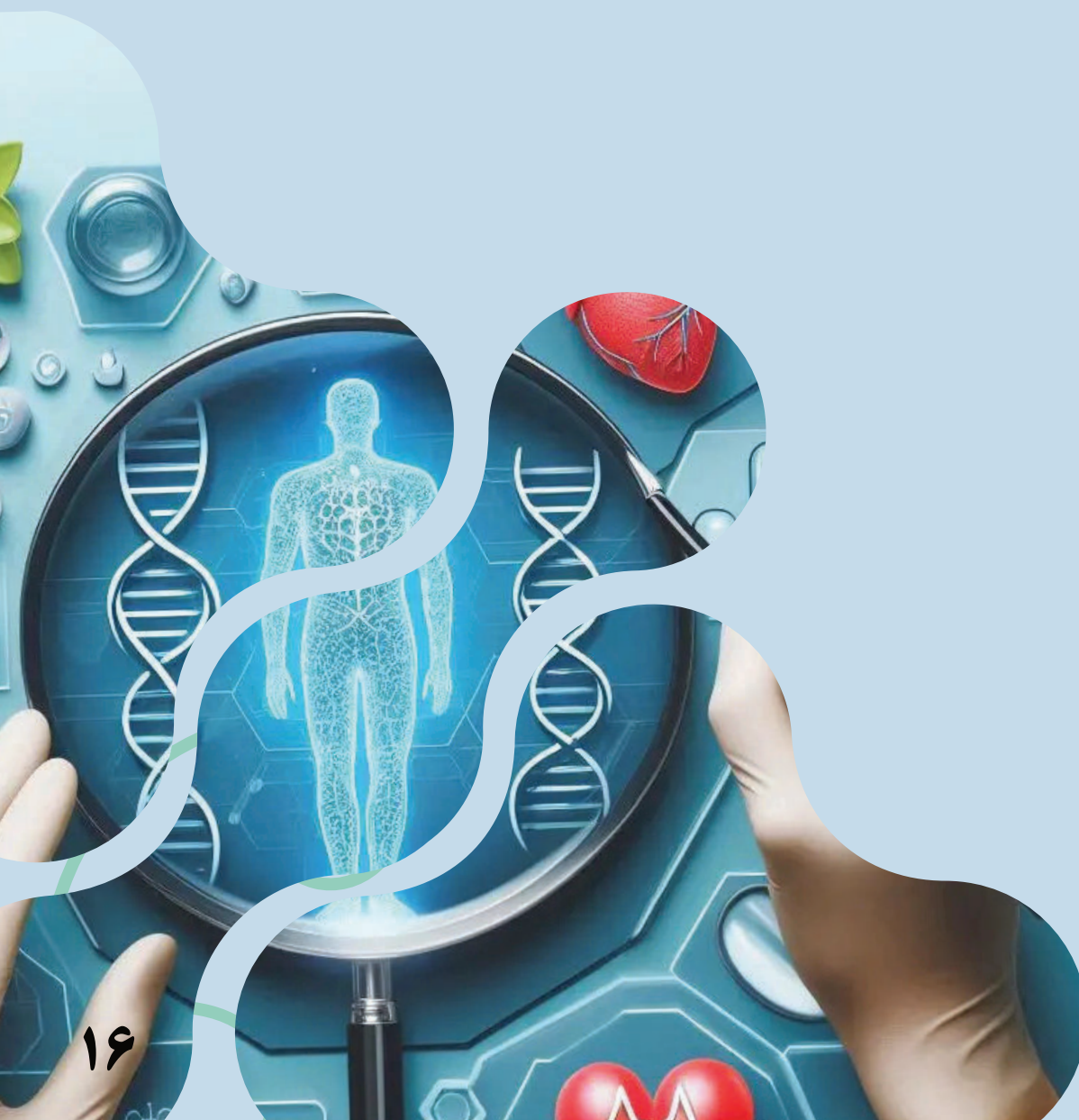
ژن درمانی به عنوان یکی از پیشرفته ترین و نوآورانه ترین ابزارهای پزشکی شخصی سازی شده، تحولات زیادی را به همراه آورده است، اما با چالش های علمی و اخلاقی متعددی نیز مواجه است. از نظر علمی، بزرگ ترین چالش در این حوزه تضمین دقت بالای ویرایش ژنتیکی است. کوچکترین خطا در اصلاح ژنوم می تواند منجر به عواقب جدی و غیرقابل پیش بینی شود.

همچنین، ایجاد درمان هایی که به طور ایمن و مؤثر ژن های معیوب را در بیماران اصلاح کنند، نیاز به تحقیقات بیشتری دارد تا مطمئن شویم که این روش ها بدون خطر و با ثبات عمل می کنند.

از منظر اخلاقی، مباحث بسیاری پیرامون دستکاری ژنتیکی به ویژه در ژن هایی که قابلیت انتقال به نسل های بعدی را دارند، مطرح شده است. آیا ما حق داریم تغییرات ژنتیکی در افراد ایجاد کنیم که ممکن است بر نسل های آینده تأثیر بگذارد؟ همچنین، پرسش هایی درباره دسترسی عادلانه به این نوع درمان های پیشرفته مطرح است؛ آیا فقط برخی افراد خاص می توانند از این روش های درمانی بهره مند شوند یا اینکه باید به صورت عمومی در دسترس همگان قرار گیرد؟ با این وجود، فرصت های بی نظیر ژن درمانی غیرقابل انکار است. این روش ها امکان شناسایی و اصلاح دقیق جهش های ژنتیکی هر بیمار را فراهم می کنند، به طوری که درمان ها کاملاً متناسب با نیازهای فردی طراحی شوند. این امر نه تنها به نتایج بهتر در درمان بیماری ها منجر می شود، بلکه می تواند به کاهش عوارض جانبی و افزایش کیفیت زندگی بیماران کمک کند.

نتیجه گیری:

ژن درمانی به عنوان یکی از نوآورانه ترین روش های پزشکی شخصی سازی شده، موفقیت های چشم گیری در درمان بیماری های نادر ژنتیکی و سرطان به دست آورده و افق های جدیدی در علم پزشکی گشوده است. با امکان اصلاح ژن های معیوب در هر بیمار، این فناوری راه را برای درمان های دقیق تر و مؤثرتر فراهم کرده و به کاهش عوارض جانبی و بهبود کیفیت زندگی بیماران کمک کرده است. با وجود چالش های اخلاقی و ایمنی که هنوز نیاز به بررسی دقیق دارند، ژن درمانی در آینده می تواند به راهکاری اساسی برای درمان طیف وسیع تری از بیماری ها تبدیل شود. این پیشرفت ها نویدبخش آینده ای هستند که در آن پزشکی شخصی سازی شده نقش مهم تری در بهبود سلامت جهانی ایفا خواهد کرد.





Jahesh