Η μικρούλα Λέιλα Ρίτσαρντς ήταν μόλις 14 εβδομάδων όταν εκδήλωσε οξεία λεμφοβλαστική λευχαιμία, η οποία είναι ένας από τους συχνότερους καρκίνους της παιδικής ηλικίας και φυσιολογικά έχει ποσοστά ιάσεως πάνω από 85%.

Στην περίπτωσή της, όμως, ήταν η πιο επιθετική μορφή που είχαν δει ποτέ οι γιατροί του φημισμένου Νοσοκομείου Παίδων της Great Ormond Street που την ανέλαβαν και μέσα σε επτά εβδομάδες από τη στιγμή που υποβλήθηκε σε χημειοθεραπεία και μεταμόσχευση μυελού των οστών, η λευχαιμία της είχε υποτροπιάσει.

Εφέτος τον Ιούνιο, λίγες μόλις μέρες πριν η Λέιλα γίνει ενός έτους, οι γιατροί είπαν στους γονείς της πως δεν τους είχαν απομείνει άλλες επιλογές και το μωράκι θα πέθαινε, αλλά εκείνοι αρνήθηκαν να τους πιστέψουν.

«Δεν υπήρχε περίπτωση να το δεχθούμε, η Λέιλα έπρεπε να ζήσει. Τους ζητήσαμε να δοκιμάσουν τα πάντα, οτιδήποτε» δήλωσε στον βρετανικό Τύπο η μητέρα του παιδιού, Λίσα Φόλεϋ.

Οι γιατροί του Great Ormond Street τους ενημέρωσαν ότι στα εργαστήριά τους είχαν επινοήσει μία τεχνική που ήταν τόσο καινούργια, ώστε έως τότε είχε δοκιμαστεί μόνο σε ποντίκια.

Η τεχνική αυτή είναι μία μορφή γονιδιωματικής τροποποίησης (gene-editing) και στόχος ήταν να χορηγηθούν στη Λέιλα γενετικά τροποποιημένα ανοσοποιητικά κύτταρα που θα καταπολεμούσαν τη λευχαιμία δίχως να πλήξουν τα υγιή κύτταρα του σώματός της.

Οι έως τώρα δημοσιευμένες απόπειρες γονιδιωματικής τροποποίησης αφορούσαν την προσθήκη νέων γονιδίων για να διορθωθεί ένα υπάρχον ελάττωμα, ενώ στην τεχνική που εφαρμόσθηκε στη Λέιλα έγινε αλλαγή στα υπάρχοντα γονίδια με μικροσκοπικά, μοριακά «ψαλίδια» (επιστημονικά αποκαλούνται Talens) που χρησιμοποιήθηκαν στο DNA των ανοσοποιητικών κυττάρων ενός δότη.

Υπό φυσιολογικές συνθήκες τα ανοσοποιητικά κύτταρα θα λαμβάνονταν από την Λέιλα για να τροποποιηθούν γενετικά στη συνέχεια, αλλά «το μωράκι ήταν τόσο μικρό και άρρωστο ώστε αυτό ήταν αδύνατον», κατά τον δρα Γουασίμ Κάσιμ, καθηγητή Κυτταρικής & Γονιδιακής Θεραπείας στο University College του Λονδίνου (UCL).

Οι επιστήμονες τροποποίησαν τα κύτταρα του δότη δύο φορές: μία για να μάθουν να καταπολεμούν την λευχαιμία και μία για να γίνουν «αόρατα» και να μην τους επιτεθεί το ανοσοποιητικό σύστημα της Λέιλα.

Η όλη τεχνολογία είναι τόσο πειραματική, ώστε πριν την εφαρμόσουν οι γιατροί υπέβαλλαν αίτημα εγκρίσεως στην Επιτροπή Ηθικής του νοσοκομείου τους και στην Ρυθμιστική Αρχή

Φαρμάκων & Προϊόντων Φροντίδας Υγείας (MHRA) της Βρετανίας.

Η έγχυση των γενετικά τροποποιημένων κυττάρων έγινε πριν από λίγους μήνες και ακολουθήθηκε από δεύτερη μεταμόσχευση μυελού των οστών για να τονωθεί το ανοσοποιητικό του μωρού.

Τώρα, πριν καλά-καλά περάσει πεντάμηνο από τη στιγμή που οι γονείς της Λέιλα άκουσαν ότι το παιδί τους θα πεθάνει, το μωράκι όχι μόνο είναι ζωντανό, αλλά δεν έχει ίχνος λευχαιμίας στο σωματάκι του.

«Δεν θέλαμε να την χάσουμε, προτιμήσαμε να ρισκάρουμε με κάτι άγνωστο και σήμερα την βλέπουμε όρθια να γελάει και να κάνει σκανταλιές, όταν πριν την θεραπεία ήταν απίστευτα αδύναμη», είπε ο πατέρας της, Άσλεϋ Ρίτσαρντς.

Ο γιατρός της μικρούλας δρ Πωλ Βέϋς, διευθυντής της Μονάδας Μεταμόσχευσης Μυελού των Οστών στο Great Ormond Street, είπε πως η μεταμόρφωσή της είναι «ένα από ταπιο εκπληκτικά πράγματα» που έχει δει την τελευταία 20ετία.

«Είναι σε θαυμάσια κατάσταση σε σύγκριση με το πως ήταν πριν από πέντε μήνες, αλλά θα ήταν πρόωρο να μιλήσουμε για ίαση», πρόσθεσε. «Αυτό θα το ξέρουμε σε ένα ή δύο χρόνια, αλλά ακόμα και το ότι φτάσαμε ως εδώ είναι ένα τεράστιο, σημαντικό βήμα. Είναι σχεδόν θαύμα».

Η περίπτωση της Λέιλα θα παρουσιασθεί τον Δεκέμβριο στο επερχόμενο 57ο Ετήσιο Συνέδριο της Αμερικανικής Εταιρείας Αιματολογίας (ASH 2015), με τους γιατρούς να τονίζουν πως ναι μεν ακούγεται ελπιδοφόρα αλλά οπωσδήποτε είναι ένα μεμονωμένο περιστατικό και όχι κανονική μελέτη, ώστε να θεωρηθεί πως η μέθοδος είναι αποτελεσματική και για άλλες ανάλογες περιπτώσεις.

πηγή: tanea.gr