

خبر خوب برای بیماران ALS؛ دانشمندان روشی برای ویرایش RNA ابداع کردند - دیجیاتو

حمید مقدسی | دوشنبه، ۲۳ مرداد ۱۳۹۶

متداول ترین روش ویرایش ژن که به «[کریسپر](#)» (CRISPR-Cas9) معروف است، تنها می تواند DNA را دستکاری کند که اگرچه کاربردهای سودمند زیادی دارد، اما در درمان بیماری های مرتبط با RNA قابل استفاده نیست.

خوشبختانه این مشکل هم در آینده ای نزدیک حل خواهد شد، چون پس از گمانه زنی های طولانی در مورد ویرایش RNA، محققین تکنیک جدیدی را به نام RCas9 ابداع کردند که می تواند خطاهای مولکولی زمینه ساز بیماری هایی همچون ALS (اسکلروز جانبی آمیوتروفیک) وراثتی یا هانتینگتون را تصحیح نماید.

این تیم با استفاده از یک RNA راهنما به هدف خود رسیدند که آنزیم اصلاح کننده را به سمت توالی مطابق با مولکول های RNA هدف سوق می دهد. این روش در آزمایشگاه کاملاً مؤثر بوده و تقریباً تمامی RNA های ناقص را در نمونه سلول عضلانی بیمار تصحیح کرده است.



البته محیط آزمایشگاهی با شرایط واقعی موجود زنده تفاوت زیادی دارد. این محققین می گویند برای استفاده از این روش در بافت زنده با مشکلات زیادی روبرو هستند، به ویژه اینکه ارسال RCas9 به سمت سلول های بیمار بسیار دشوار است.

ویروس های بی ضرر که معمولاً برای ژن درمانی استفاده می شوند، قادر به حمل کامل Cas9 نیستند و محققین باید ویروس های مخصوصی را برای این کار طراحی کنند. البته بحث اجرای آزمون های بالینی و اثبات بی خطر بودن این روش هم به قوت خود باقیست.

با این حال، پتانسیل درمان بیماری های مبتنی بر RNA بسیار امیدوار کننده است. در حال حاضر هیچ روش درمانی، حتی برای کند کردن روند بیماری هایی نظیر ALS وجود ندارد. ویرایش RNA هم اگرچه درمان محسوب نمی شود، اما می تواند مدت زمان زندگی طبیعی این بیماران را به میزان قابل توجهی افزایش دهد.

