

أمريكا توافق على أول علاج جيني للأطفال مصابين بمرض وراثي نادر



(رويترز)

وافقت إدارة الأغذية والعقاقير الأمريكية، الاثنين، على العلاج الجيني الذي تقدمه شركة «أورتشيد ثيرابيوتكس»، ومقرها المملكة المتحدة والمخصص للأطفال الذين يعانون حثل المادة البيضاء متبدل اللون، ما يجعله أول علاج معتمد في الولايات المتحدة لهذا المرض الوراثي النادر.

ومرض حثل المادة البيضاء متبدل اللون هو اضطراب وراثي نادر يصيب الأطفال، ويتسبب في تراكم المواد الدهنية في الخلايا وخاصة في المخ والحبل الشوكي والأعصاب الطرفية.

وقالت الشركة إنها ستقدم تفاصيل عن سعر الدواء ومدى توافره في وقت لاحق من الأسبوع. وكانت شركة الأدوية اليابانية «كيوا كيرين» استحوذت على «أورتشيد ثيرابيوتكس» العام الماضي مقابل 477.6 مليون دولار.

وقالت إدارة الأغذية والعقاقير: إنها وافقت على تقديم هذا الدواء الذي يحمل اسم «لينميليدي» في الولايات المتحدة، وهو

.من جرعة واحدة، للأطفال في مراحل معينة من تطور المرض

واعتمدت الموافقة على بيانات من 37 طفلاً تلقوا دواء «لينميليدي» في تجربتين سريريتين مفتوحتين، وأظهرت نتائجهما أن العلاج قلل بشكل كبير من خطر الإصابة بضعف الحركة الشديد أو الوفاة، مقارنة بالأطفال الذين لم يحصلوا على هذا العلاج

لكن الإدارة أشارت إلى احتمال الإصابة بسرطان الدم المرتبط بالعلاج، إلى جانب تكوين جلطات دموية أو نوع من تورم أنسجة المخ. ووفقاً للإدارة تشير التقديرات إلى أن مرض حثل المادة البيضاء متبدل اللون يصيب واحداً من كل 40 ألف فرد في الولايات المتحدة

"حقوق النشر محفوظة" لصحيفة الخليج. © 2024