

Γονιδιακή Θεραπεία : Θαυμασμός, ελπίδα, τρόμος, αγωνία.....Ενα κουβάρι μαζί !!

Δρ. Γεωργίου Γεωργαδάκη, χειρουργού-γυναικολόγου-μαιευτήρα (ggeorgad @gmail.com)

A Βρετανία: Δόθηκε έγκριση στην πρώτη στον κόσμο γονιδιακή θεραπεία για αιματολογικές παθήσεις **16/11/23**

B Άνθρωποι με γονιδιακή επεξεργασία ; Οι επιστήμονες ηχούν συναγερμό καθώς το Ηνωμένο Βασίλειο εγκρίνει τη θεραπεία CRISPR για τη θεραπεία της νόσου του αίματος **17/11/23**

Η κοινή ανάρτηση-παρουσίαση και των δύο ταυτόχρονα γενομένων επιστημονικών ανακοινώσεων παγκοσμίως, ένα και μόνο σκοπό έχει. Να θυμίσει στους αναγνώστες, πως μέχρι και σήμερα (θα έλεγα ιδιαίτερα σήμερα), παραμένει διαχρονικά επίμονη η Ιπποκρατική παρακαταθήκη του «ωφιλέειν και μη βλάπτειν» Γ. Γεωργαδάκης

A Βρετανία: Δόθηκε έγκριση στην πρώτη στον κόσμο γονιδιακή θεραπεία για αιματολογικές παθήσεις **16/11/23 23:48**

Η Βρετανία **ενέκρινε** μια γονιδιακή θεραπεία, που αποσκοπεί να θεραπεύσει τη δρεπανοκυτταρική αναιμία και την β-θαλασσαιμία, **κληρονομικές αιματολογικές διαταραχές, για ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω, ανέφερε σήμερα ο οργανισμός φαρμάκων της χώρας, γεγονός που την καθιστά την πρώτη χώρα στον κόσμο που κάνει κάτι τέτοιο.**

Το **Casgevy** είναι το πρώτο φάρμακο που λαμβάνει άδεια και χρησιμοποιεί το εργαλείο τροποποίησης του γονιδιώματος **CRISPR**, που χάρισε στις εφευρέτριές του, στη Γαλλίδα **Emmanuelle Charpentier** και την



Αμερικανίδα **Jennifer Doudna**, βραβείο Νόμπελ Χημείας το 2020, ανέφερε ο Βρετανικός οργανισμός φαρμάκων και προϊόντων υγείας (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA).

Η δρεπανοκυτταρική αναιμία και η β-θαλασσαιμία είναι γενετικές παθήσεις που προκαλούνται από λάθη στα γονίδια για την αιμοσφαιρίνη, την οποία χρησιμοποιούν τα ερυθρά αιμοσφαίρια προκειμένου να μεταφέρουν οξυγόνο σε όλο τον οργανισμό.

«Τόσο η δρεπανοκυτταρική αναιμία, όσο και η β-θαλασσαιμία είναι επώδυνες παθήσεις, που διαρκούν μια ζωή και που σε ορισμένες περιπτώσεις μπορεί να είναι μοιραίες», ανέφερε στη δήλωση ο προσωρινός διευθυντής της MHRA, Julian Beach.



Σε κλινικές δοκιμές το Casgevy βρέθηκε ότι αποκαθιστά την υγιή παραγωγή αιμοσφαιρίνης στην πλειονότητα των συμμετεχόντων με δρεπανοκυτταρική αναιμία και εξαρτώμενη από μεταγγίσεις β-θαλασσαιμία, καταπραΰνοντας τα συμπτώματα της ασθένειας, πρόσθεσε ο Julian Beach.

Ο MHRA ανέφερε ότι δεν έχουν ταυτοποιηθεί σημαντικές ανησυχίες ασφαλείας στη διάρκεια των δοκιμών, προσθέτοντας πως παρακολουθεί εκ του σύνεγγυς την ασφάλεια του φαρμάκου.

Η θεραπεία με Casgevy συνίσταται στην αφαίρεση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων από τον μυελό των οστών του ασθενή και στη διόρθωση ενός γονιδίου στο εργαστήριο, με τα τροποποιημένα κύτταρα να εισάγονται και πάλι στον οργανισμό του ασθενή έπειτα από θεραπεία προσαρμογής ώστε να προετοιμαστεί ο μυελός των οστών.

Πηγή: ΑΠΕ-ΜΠΕ, REUTERS

[HTTPS://WWW.ERTNEWS.GR/EIDISEIS/DIETHNI/VRETANIA-DOTHIKE-EGKRISI-STIN-PROTI-STON-KOSMO-GONIDIAKI-THERAPEIA-GIA-AIMATOLOGIKES-PATHISEIS/](https://www.ertnews.gr/eidiseis/diethni/vretania-dothike-egkrisi-stin-proti-ston-kosmo-gonidiaki-therapeia-gia-aimatologikes-pathiseis/)

Β Άνθρωποι με γονιδιακή επεξεργασία ; Οι επιστήμονες ηχούν συναγερμό καθώς το Ηνωμένο Βασίλειο εγκρίνει τη θεραπεία CRISPR για τη θεραπεία της νόσου του αίματος .

17/11/23

Οι ρυθμιστικές αρχές του Ηνωμένου Βασιλείου ενέκριναν αυτήν την εβδομάδα την πρώτη θεραπεία CRISPR για τη θεραπεία ανθρώπων και οι ρυθμιστικές αρχές των ΗΠΑ θα μπορούσαν να εγκρίνουν τη θεραπεία - σχεδιασμένη για τη θεραπεία αιματολογικών διαταραχών - ήδη από τον Δεκέμβριο. Εν τω μεταξύ, η αμερικανική εταιρεία πίσω από μια άλλη τεχνολογία CRISPR, την «επεξεργασία βάσης», ανέφερε μια επιτυχημένη αρχική μελέτη - παρά το γεγονός ότι 2 από τα 10 άτομα υπέστησαν καρδιακή προσβολή, με αποτέλεσμα τον θάνατο ενός συμμετέχοντος στη δοκιμή. Με [Brenda Baletti, Ph.D.](#)



[Οι ρυθμιστικές αρχές του Ηνωμένου Βασιλείου ενέκριναν](#) την Πέμπτη [μια](#) [θεραπεία που χρησιμοποιεί την τεχνολογία επεξεργασίας γονιδίων CRISPR για τη](#) [θεραπεία δύο διαταραχών του αίματος.](#) Οι ομοσπονδιακές ρυθμιστικές αρχές των ΗΠΑ είναι [έτοιμες να εγκρίνουν](#) την ίδια μεταχείριση τον Δεκέμβριο.

Η [θεραπεία exa-cel](#), η οποία ακούει στο όνομα [Casgevy](#), είναι η πρώτη στον κόσμο [θεραπεία CRISPR για ανθρώπους που εγκρίθηκε στην αγορά](#).

Το [CRISPR](#) είναι μια [τεχνολογία επεξεργασίας γονιδίων](#), που λειτουργεί ως ένα ζευγάρι «[γενετικών ψαλιδιών](#)», επιτρέποντας στους επιστήμονες να [επεξεργάζονται τμήματα του DNA](#) «[κόβοντας](#)» συγκεκριμένα τμήματά του και αντικαθιστώντας τα με νέα τμήματα. Ανακοινώθηκε για πρώτη φορά σε ένα [έγγραφο του 2012](#), το CRISPR φημίζεται ως ένας [φθηνός και εύκολος τρόπος επεξεργασίας γονιδίων](#).

Οι εφευρέτες του κέρδισαν το [Νόμπελ Χημείας](#) το 2020. Τα τελευταία χρόνια, οι εφαρμογές στη [χειραγώγηση φυτών](#) και η έρευνα για πιθανή χρήση στον άνθρωπο έχουν πολλαπλασιαστεί, καθώς η τεχνολογία έχει προωθηθεί ως [πιθανή λύση σε προβλήματα που ξεκινούν από ασθένειες, ασφάλεια τροφίμων και κλιματική αλλαγή](#).

Αλλά αυτή η έρευνα ήταν [εξαιρετικά αμφιλεγόμενη](#) και μια μακρά [σειρά εγγράφων](#) έχει δημοσιευθεί που περιγράφει λεπτομερώς [τις ανεπιθύμητες συνέπειες](#) της [επεξεργασίας γονιδίων CRISPR](#), η οποία έχει βρεθεί ότι προκαλεί πολλούς τύπους [σοβαρών ακούσιων βλαβών στο DNA](#).

Το [Casgevy](#) έχει σχεδιαστεί για τη [θεραπεία δύο παθήσεων του αίματος: τη δρεπανοκυτταρική αναιμία και τη βήτα θαλασσαιμία](#). Η δρεπανοκυτταρική αναιμία, γνωστή και ως δρεπανοκυτταρική αναιμία, εμφανίζεται συχνότερα σε άτομα αφρικανικής ή Καραϊβικής καταγωγής. Μπορεί να προκαλέσει εξουθενωτικό πόνο.

Τα άτομα με [βήτα θαλασσαιμία](#), η οποία μπορεί να προκαλέσει ήπια ή σοβαρή αναιμία, μπορεί να [χρειάζονται τακτικές μεταγγίσεις αίματος](#).

Και οι δύο γενετικές καταστάσεις προκαλούνται από σφάλματα στα γονίδια για την αιμοσφαιρίνη, μια πρωτεΐνη που επιτρέπει στα ερυθρά αιμοσφαίρια να

μεταφέρουν οξυγόνο σε όλο το σώμα - και οι δύο καταστάσεις μπορεί να είναι θανατηφόρες.

Η θεραπεία, που αναπτύχθηκε από [την Vertex Pharmaceuticals](#) και [την CRISPR Therapeutics](#), εγκρίθηκε, μετά από μια δοκιμαστική εφαρμογή, που ακολούθησε μόνο 29 από τους συνολικά 45 συμμετέχοντες ασθενείς, με δρεπανοκυτταρική αναιμία, για 16 μήνες. Είκοσι οκτώ από αυτούς που παρακολούθηθηκαν δεν είχαν πόνο μετά από ένα χρόνο, που οφείλεται κυρίως στις κρίσεις-εξάρσεις της νόσου, ανέφερε το Nature.

Στην κλινική δοκιμή για τη βήτα θαλασσαιμία, 39 από τους 42 συμμετέχοντες στη δοκιμή δεν χρειάστηκε να κάνουν μετάγγιση ερυθρών αιμοσφαιρίων για τουλάχιστον 12 μήνες μετά τη λήψη του Casgevy. Συνήθως, χρειάζονται μεταγγίσεις αίματος, κάθε τρεις έως πέντε εβδομάδες.

Πώς λειτουργεί η θεραπεία;

Και για τις δύο ασθένειες, η θεραπεία χορηγείται με τη λήψη βλαστοκυττάρων που παράγουν αίμα, από τον μυελό των οστών του ασθενούς και την επεξεργασία των γονιδίων χρησιμοποιώντας τη τεχνική CRISPR, γνωστό και ως [CRISPR/Cas9](#), που ονομάζεται έτσι από την πρωτεΐνη που χρησιμοποιείται για την κοπή του DNA.

Η τεχνολογία στοχεύει ένα γονίδιο, που ονομάζεται BCL11A, το οποίο συνήθως διακόπτει την παραγωγή ενός είδους αιμοσφαιρίνης που συνήθως παράγεται μόνο από τα έμβρυα.

Το [Cas9](#) εντοπίζει το γονίδιο και κόβει τους κλώνους του DNA για να σταματήσει να λειτουργεί το γονίδιο. Στη διαδικασία, απελευθερώνει την παραγωγή εμβρυϊκής αιμοσφαιρίνης, η οποία δεν έχει τις ίδιες ανωμαλίες με την αιμοσφαιρίνη των ενηλίκων σε άτομα με αυτές τις διαταραχές του αίματος.

Πριν από τη θεραπεία, οι ασθενείς υποβάλλονται σε μια έντονη και επικίνδυνη θεραπεία που ονομάζεται «[μυελοεκαθαριστική προετοιμασία](#)», η οποία προετοιμάζει το σώμα τους να λάβει τα γονιδιακά επεξεργασμένα κύτταρα. Τα γονιδιακά επεξεργασμένα κύτταρα στη συνέχεια [εγχέονται πίσω στο σώμα μετά την επεξεργασία τους](#). Οι ασθενείς [μπορεί να χρειαστεί να περάσουν μήνες στο νοσοκομείο πριν και μετά τη θεραπεία](#).

Η θεραπεία πιθανότατα [θα είναι πολύ ακριβή - περίπου 2 εκατομμύρια δολάρια](#) - καθώς εισερχόμαστε στη λεγόμενη «[εποχή των γενετικών θεραπειών πολλών εκατομμυρίων δολαρίων](#)», αν και οι εταιρείες δεν έχουν κατονομάσει την τιμή.

«Χρειάζεται μόνο ένα κύτταρο μέσα σε μια μεγάλη δεξαμενή επεξεργασμένων κυττάρων για να ... προκαλέσει καρκίνο»

Αν και τα περισσότερα μέσα ενημέρωσης γιόρτασαν για τις νέες θεραπείες που βασίζονται στο CRISPR, η επιστημονική έρευνα έχει [εγείρει ανησυχίες σχετικά με τη χρήση της τεχνολογίας, η οποία μπορεί να προκαλέσει σοβαρή γενετική βλάβη](#).

Αυτό [μπορεί να συμβεί](#), για παράδειγμα, [όταν το κύτταρο αρχίζει να επιδιορθώνεται](#) μετά την αρχική κοπή με στόχευση CRISPR, ανεξάρτητα από το πόσο «ακριβής» μπορεί να είναι αυτή η περικλοπή.

Μελέτες έχουν βρει ότι οι επεξεργασίες του CRISPR, που αποσκοπούσαν να [εξαλείψουν τη λειτουργία ενός γονιδίου απέτυχαν](#) να το κάνουν. Αντίθετα, έχουν [καταστρέψει τα γονίδια](#), προκαλώντας [άγνωστες μεταλλάξεις](#).

Σε άλλες περιπτώσεις, το CRISPR έκανε [απροσδόκητα μεγάλες διαγραφές](#), προκαλώντας μεγαλύτερη γενετική βλάβη, από ό,τι πιστεύαμε προηγουμένως. Ο [Μιχαήλ Αντωνίου, Ph.D.](#), επικεφαλής του [Gene Expression & Therapy Group](#) στο King's College του Λονδίνου, είπε στο [The Defender](#) :

«Είναι καλά τεκμηριωμένο ότι η επεξεργασία γονιδίων CRISPR/Cas9 δεν είναι μόνο επιρρεπής σε γενετικές βλάβες εκτός στόχου, αλλά και σε ένα ευρύ φάσμα ακούσιων μεταλλάξεων ακόμη και στην προβλεπόμενη τοποθεσία επεξεργασίας. Αυτό μπορεί να επηρεάσει αρνητικά τη λειτουργία πολλαπλών γονιδίων, γεγονός που μπορεί να οδηγήσει σε καρκίνο.

«Είναι επομένως ζωτικής σημασίας οι υπεύθυνοι για τη χορήγηση της θεραπείας γονιδιακής επεξεργασίας να διεξάγουν αμερόληπτη ανάλυση σε όλο το γονιδίωμα ασθενών που υποβάλλονται σε θεραπεία για δυνητικά βλαβερές για τη ζωή μεταλλάξεις του DNA. Αυτό είναι απαραίτητο καθώς χρειάζεται μόνο ένα κύτταρο μέσα στη μεγάλη δεξαμενή των επεξεργασμένων κυττάρων για να πάει στραβά και να προκαλέσει καρκίνο».

Οι κλινικές δοκιμές δεν βρήκαν καρκίνο σε κανένα από τα άτομα, αλλά η ομάδα δοκιμής ήταν μικρή και οι ασθενείς παρακολουθήθηκαν μόνο για 16 μήνες. Η Vertex είπε ότι **σχεδιάζει να παρακολουθεί υποκείμενα κλινικών δοκιμών για 15 χρόνια**, αλλά είπε στις ρυθμιστικές αρχές ότι «δεν είδαν κανένα λόγο να **καθυστερήσουν τη θεραπεία**», ανέφεραν [οι New York Times](#).

Το μέλος της συμβουλευτικής επιτροπής του Αμερικανικού Οργανισμού Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) **Alexis Komor** σημείωσε ότι **μπορούν πάντα να υπάρχουν πρόσθετες μελέτες ασφάλειας και δεν ήταν λογικό να «περιμένουμε την τελειότητα σε βάρος της προόδου»**.



CRISPR για υψηλή χοληστερόλη ; Ο Διευθύνων Σύμβουλος της εταιρείας βιοτεχνολογίας που αναπτύσσει θεραπεία ελπίζει ότι κάποια μέρα όλοι θα την πάρουν.

Μια δεύτερη ιατρική θεραπεία CRISPR (εκτός από τη δρεπανοκυτταρική αναιμία και τη β-θαλασσαιμία), έγινε πρωτοσέλιδο αυτή την εβδομάδα, όταν [οι ερευνητές](#)

ανέφεραν ότι, 2 στους 10 συμμετέχοντες είχαν καρδιακή προσβολή - και ένας από αυτούς πέθανε - στην πρώτη ανθρώπινη δοκιμή χρησιμοποιώντας μια τεχνική που προέρχεται από το CRISPR, γνωστή ως «επεξεργασία βάσης» για τη μείωση της χοληστερόλης (ως μελλοντική θεραπεία της υπερχοληστεριναιμίας).

Ωστόσο, η μελέτη, που παρουσιάστηκε σε μια συνάντηση της Αμερικανικής Καρδιολογικής Εταιρείας την περασμένη Κυριακή, χαιρετίστηκε ως «ένα πιθανό ορόσημο απόδειξης της ιδέας» από το NPR και ως «υποσχόμενα αποτελέσματα» από τη φύση και ως «ανακάλυψη» από την επιστήμη, επειδή μείωσε τη ποσότητα λιποπρωτεΐνης χαμηλής πυκνότητας (LDL) ή «κακής χοληστερόλης», στο αίμα των επιζώντων συμμετεχόντων στη δοκιμή, έως και 55%.

Ο FDA ενέκρινε την Verve Therapeutics, την εταιρεία βιοτεχνολογίας που βρίσκεται πίσω από τη θεραπεία, να εγγράψει ασθενείς στις ΗΠΑ για να συμμετάσχουν στην επόμενη φάση της μελέτης χωρίς αλλαγές στο πρωτόκολλο φαρμάκων.

Οι επενδυτές ήταν πιο προσεκτικοί. Η τιμή της μετοχής της εταιρείας υποχώρησε 37% στις προκαταρκτικές συναλλαγές μετά την παρουσίαση των δοκιμαστικών αποτελεσμάτων της.

Η θεραπεία, ξαναγράφει τον γενετικό κώδικα μέσα στο σώμα χρησιμοποιώντας μια μετάγγιση αίματος για την παροχή ενός βασικού επεξεργαστή που έχει σχεδιαστεί για να απενεργοποιεί μια ηπατική πρωτεΐνη που ρυθμίζει την LDL.

Η Verve ανέφερε τα ενδιάμεσα αποτελέσματα μιας δοκιμής φάσης 1β για τη θεραπεία, που διεξήχθη στο Ηνωμένο Βασίλειο και τη Νέα Ζηλανδία, στον ιστότοπό της και στη συνάντηση της Αμερικανικής Καρδιολογικής Εταιρείας και ανακοίνωσε ότι θα συνεχίσει τη δοκιμή το επόμενο έτος στις ΗΠΑ.

«Αυτή η τεχνολογία προωθείται ως «[υπερακριβής](#)», αλλά αυτό δεν είναι ακριβές, σύμφωνα με τον [John Fagan, Ph.D.](#), επικεφαλής επιστήμονας και διευθύνων σύμβουλος του μη κερδοσκοπικού ανεξάρτητου εργαστηρίου [Health Research Institute](#).



Ο Fagan είπε στο The Defender:

«Η «[επεξεργασία γονιδίου](#)» είναι «[κατευθυνόμενη](#)», με την έννοια [ότι μπορεί να προγραμματιστεί για να κάνει συγκεκριμένες επιδιωκόμενες αλλαγές στο DNA](#), αλλά, [μαζί με τις επιδιωκόμενες γονιδιακές επεξεργασίες, συχνά συμβαίνουν ακούσια αποτελέσματα, «εκτός στόχου», τα οποία μπορεί να είναι βλαπτικά για την υγεία, ακόμη και την επιβίωση](#)».

Η Verve πραγματοποίησε τη δοκιμή της σε άτομα με [ετερόζυγη οικογενή υπερχοληστερολαιμία \(HeFH\)](#), [μια γενετική ασθένεια που προκαλεί υψηλά επίπεδα LDL από τη γέννηση](#). Αλλά η Verve [ελπίζει ότι η θεραπεία θα χρησιμοποιηθεί ως εφάπαξ εναλλακτική στην καθημερινή χρήση στατινών από τα δεκάδες εκατομμύρια των ανθρώπων που έχουν διαγνωστεί με \[υψηλή χοληστερόλη\]\(#\)](#).

Ο [Διευθύνων Σύμβουλος](#) της Verve, [Sekar Kathiresan](#), [είπε στο Science](#) ότι ήλπιζε ότι μια μέρα, θα μπορούσε αυτή η θεραπεία, να δοθεί σε [ενήλικες μεγαλύτερης ηλικίας γενικότερα για να αποτρέψει την ασθένεια](#). [«Στο δρόμο, ίσως γίνεις 50, και αυτό είναι που παίρνεις και παρατείνει τη ζωή σου»](#), [είπε ο Kathiresan](#). «Αυτό είναι το απόλυτο όραμα».



Όμως ο Fagan είπε ότι [δεδομένων των σοβαρών κινδύνων για την υγεία που συνδέονται με αυτή την τεχνολογία, δεν υπάρχει καμία δικαιολογία για μια τέτοια πρόταση](#). [«Τέτοιες μέθοδοι θα πρέπει να χρησιμοποιούνται μόνο ως έσχατη λύση»](#), [είπε](#).

Οι τεχνολογίες που βασίζονται στο CRISPR εξελίσσονται γρήγορα «με επικίνδυνη ύβρη» (CRISPR-based technologies being fast-tracked 'with dangerous hubris')

Η δοκιμή της Verve είναι η πρώτη που χρησιμοποιεί μια [θεραπεία βασικής επεξεργασίας](#) σε ανθρώπους.

Το CRISPR λειτουργεί συνήθως, [αποκόπτοντας και τους δύο κλώνους του DNA και επιτρέποντας στα κύτταρα να επιδιορθώσουν το σπάσιμο](#). Οι [συντάκτες βάσης](#), (base editors), που αναπτύχθηκαν το 2016 από το εργαστήριο του [David Liu](#), στο Πανεπιστήμιο του Χάρβαρντ και το [Broad Institute](#), [χρησιμοποιούν την τεχνολογία CRISPR, για να αλλάξουν μεμονωμένες βάσεις στον γενετικό κώδικα χωρίς να σπάσουν και οι δύο κλώνοι DNA - μια διαδικασία που οι προγραμματιστές λένε ότι είναι πιο ακριβής](#).



Αν και μερικές [γονιδιακές θεραπείες CRISPR](#), [έχουν δοκιμαστεί απευθείας στο ανθρώπινο σώμα](#), [η επεξεργασία βάσης δεν έχει δοκιμαστεί](#).

Το [πρώτο τεστ επεξεργασίας βάσεως σε ανθρώπους](#), νωρίτερα φέτος, [αφαίρεσε κύτταρα από το σώμα ενός κοριτσιού με λευχαιμία](#), [τα επεξεργάστηκε σε εργαστήριο και στη συνέχεια τα έβαλε ξανά στο σώμα της](#).

Αυτή η θεραπεία [εγχείει απευθείας στους ανθρώπους τη θεραπεία](#), η οποία έχει σχεδιαστεί για [να απενεργοποιεί μόνιμα ένα γονίδιο στο ήπαρ, που ονομάζεται PCSK9, το οποίο ελέγχει την LDL χοληστερόλη](#). Αυτό μπορεί να [αυξήσει τον κίνδυνο καρδιακής προσβολής και εγκεφαλικού](#).

Η Verve, [ενέγραψε 10 άτομα στη δοκιμή με HeFH, η οποία επηρεάζει, περίπου τρία εκατομμύρια άτομα στις ΗΠΑ και την Ευρώπη. Οι συμμετέχοντες είχαν στεφανιαία νόσο και έλαβαν στατίνες](#).

[Η επιστήμη εξήγησε](#) πώς λειτουργεί η θεραπεία:

«Η θεραπεία αυτή αποτελείται από **αγγελιοφόρο RNA (mRNA)**, που δίνει οδηγίες στα κύτταρα να κατασκευάσουν τα πρωτεϊνικά συστατικά του επεξεργαστή γονιδίων (*gene editor's protein components*).

Συσκευασμένο σε μικροσκοπικές μπάλες λίπους που ονομάζονται **νανοσωματίδια λιπιδίων (LNPs)** -που χρησιμοποιούνται επίσης στα εμβόλια mRNA **COVID-19-**ταξιδεύει στο ήπαρ, όπου ένας επιπλέον κλώνος RNA που μεταφέρεται επίσης στα σωματίδια καθοδηγεί τον επεξεργαστή βάσης στο γονίδιο PCSK9.

«Ο συνδυασμός κάνει **μια αλλαγή ζεύγους μιας βάσης**, έτσι ώστε τα κύτταρα να μπορούν να παράγουν μόνο βραχυπρόθεσμες, μη λειτουργικές εκδόσεις του ενζύμου».

Αλλά ο **J. Jay Couey, Ph.D.**, επιστήμονας του προσωπικού για την Προστασία της Υγείας των Παιδιών, είπε στο The Defender ότι **τέτοιες μεθοδολογίες επιμόλυνσης που**



βασίζονται στο LNP έχουν μια «κρίσιμη αδυναμία» που τις καθιστά επικίνδυνες και την οποία πολλοί ειδικοί, συμπεριλαμβανομένων των Δρ. Sucharit Bhakdi, Michael Yeadon, Ph.D., και Byram Bridle, Ph.D., αναδεικνύουν εδώ και χρόνια.

Ο Couey είπε:

«Ένα εντυπωσιακό κοινό μεταξύ πολλών από αυτά τα παραδείγματα ταχείας παρακολούθησης της τεχνολογίας CRISPR **είναι η υπόθεση ότι τα LNPs μπορούν να χρησιμοποιηθούν για να «στοχεύσουν»** αυτά τα mRNA σε συγκεκριμένα κύτταρα.

«Έχουμε δηλώσεις από τον εφευρέτη της τεχνολογίας LNP, [Pieter Cullis](#), που παραδέχεται ελεύθερα ότι δεν μπορούν να στοχεύσουν LNP σε έναν συγκεκριμένο ιστό.



«Ως εκ τούτου, όπως οι μεταμολύνσεις που βασίζονται στο LNP που ονομάστηκαν ερευνητικά εμβόλια για το SARS-CoV2, αυτές οι θεραπείες θα εξαπλωθούν σε όλο το σώμα σε τυχαίους ιστούς με ένα μπουκέτο πιθανών άγνωστων βραχυπρόθεσμων και μακροπρόθεσμων συνεπειών που σχετίζονται με τη διαμόλυνση τυχαίων κυττάρων σε όλο το σώμα.»

Έξι από τους 10 ασθενείς στη μελέτη, έλαβαν υποκλινικές δόσεις και **δεν αναφέρθηκε μείωση των επιπέδων της LDL**. Από τους τρεις που έλαβαν υψηλή δόση, δύο ασθενείς είχαν μειώσεις 39% και 48% στα επίπεδα της LDL και ο ασθενής που είχε την υψηλότερη δόση είχε μείωση της LDL κατά 55% που διήρκεσε για έξι μήνες.

Οι συμμετέχοντες παρουσίασαν συμπτώματα, **που μοιάζουν με γρίπη μαζί με μια προσωρινή αύξηση των ηπατικών ενζύμων**. Ένας ασθενής στην ομάδα της υποκλινικής δόσης **πέθανε από καρδιακή προσβολή πέντε εβδομάδες μετά τη θεραπεία** και ένας που είχε κλινική δόση **υπέστη καρδιακή προσβολή την επόμενη ημέρα της θεραπείας αλλά επέζησε**.

Από τα δύο άτομα που εμφάνισαν καρδιακά επεισόδια, η Verne ανέφερε ότι ένας ερευνητής και μια «ανεξάρτητη επιτροπή αναθεώρησης» κατέληξαν στο συμπέρασμα ότι **ο θάνατος δεν σχετιζόταν με τη θεραπεία** και το δεύτερο καρδιακό επεισόδιο, που συνέβη την ημέρα μετά τη θεραπεία, **«σχετιζόνταν δυναμικά» με θεραπεία**.

Η Verne σχεδιάζει να δοκιμάσει τη θεραπεία σε περίπου 40 ασθενείς, αλλά είπε ότι θα εγγράψει **«λιγότερο επικίνδυνους ασθενείς»**, για να προσπαθήσει να μειώσει

την εγγραφή ασθενών που ενδέχεται να έχουν αυτό που αποκάλεσε «άσχετες επιπλοκές», όπως καρδιακή προσβολή και θάνατο.

«Αυτό που προσπαθούμε να κάνουμε είναι να αναπτύξουμε έναν εντελώς νέο τρόπο για τη θεραπεία της καρδιακής νόσου», δήλωσε ο Kathiresan στο NPR σε συνέντευξή του. «**Είμαστε πολύ ενθουσιασμένοι . Αυτή είναι η πρώτη απόδειξη ότι κάποιος μπορεί πραγματικά να ξαναγράψει ένα μόνο γράμμα DNA στο ανθρώπινο ήπαρ και να έχει κλινικό αποτέλεσμα. Είμαστε λοιπόν ενθουσιασμένοι**».

Ο Couey βλέπει τα πράγματα διαφορετικά. «Τα φάρμακα σαν αυτά γίνονται γρήγορα με βάση τη νέα και πολύ επικίνδυνη υπόθεση ότι η χρήση LNPs που φέρουν mRNA για τη διαμόλυνση υγιών ανθρώπων, έχει αποδειχθεί ασφαλής με τη χρήση τους ως αντίμετρο πανδημίας».

Αλλά αυτό δεν είναι έτσι, είπε ο Couey.

«Η λεγόμενη επιτυχία της τεχνολογίας, που αξίζει το βραβείο Νόμπελ στα εμβόλια κατά του COVID-19 - που τώρα γνωρίζουμε ότι προκάλεσε μια συνεχώς διευρυνόμενη λίστα προβλημάτων, ενώ δεν παρέχει ουσιαστικά οφέλη, για την υγεία - θεωρείται απόδειξη ότι οποιοσδήποτε συνδυασμός LNP και το mRNA είναι βασικά ασφαλές, παρά τα στοιχεία που αποδεικνύουν το αντίθετο».

Και πρόσθεσε: «Η ψεύτικη ορμή χρησιμοποιείται για την επιτάχυνση της γονιδιακής θεραπείας γενικά, αποτελώντας μια επικίνδυνη ύβρη».

Brenda Baletti Ph.D. είναι ρεπόρτερ του The Defender. Έγραψε και δίδαξε για τον καπιταλισμό και την πολιτική για 10 χρόνια στο πρόγραμμα συγγραφής στο Πανεπιστήμιο Duke. Είναι κάτοχος Ph.D. στην ανθρωπογεωγραφία από το Πανεπιστήμιο της Βόρειας Καρολίνας στο Chapel Hill και μεταπτυχιακό από το Πανεπιστήμιο του Τέξας στο Όστιν.



https://childrenshealthdefense.org/defender/uk-crispr-therapy-humans/?utm_source=luminare&utm_medium=email&utm_campaign=defender&utm_id=20231117

Επιλογή, μετάφραση, διαμόρφωση, σχόλια, ανάρτηση-προώθηση, Δρ. Γεωργίου
Γεωργαδάκη, χειρουργού-γυναικολόγου-μαιευτήρα (ggeorgad @gmail.com),
[facebook.com/profile.php?id=100091590918172](https://www.facebook.com/profile.php?id=100091590918172) Βόλος.

