

Phương pháp mới lập trình lại tế bào tủy xương

Cấy ghép tủy xương được sử dụng để điều trị ung thư tế bào máu và đôi khi để chữa một số bệnh rối loạn tế bào máu không phải ung thư. Tuy nhiên, theo các chuyên gia, việc tìm kiếm hoặc tạo ra các tế bào tủy xương hiến tặng phù hợp và chuẩn bị cho cơ thể tiếp nhận các tế bào hiến tặng vẫn là thách thức đối với liệu pháp này.



Giờ đây, Laura Breda tại Bệnh viện Nhi đồng Philadelphia, Hoa Kỳ đã phối hợp với các cộng sự phát triển kỹ thuật mới đưa trực tiếp mRNA, một phân tử trong tế bào, vào các tế bào gốc tủy xương bằng cách sử dụng công nghệ tương tự như công nghệ dùng trong vắc xin mRNA Covid-19. Trong các tế bào gốc, phân tử này có thể chỉnh sửa các khiếm khuyết di truyền và giúp phục hồi tủy xương nhờ các tế bào máu khỏe mạnh.

Các nhà nghiên cứu đã trình diễn kỹ thuật mới trong tủy xương của chuột sống và trong tế bào gốc tạo máu của con người (tế bào gốc sản sinh các tế bào máu khác) được lấy từ bốn bệnh nhân mắc chứng rối loạn hồng cầu hình liềm. Kết quả là trong các mẫu của người, các nhà nghiên cứu đã sửa lỗi di truyền của tế bào hình liềm.

Các phát hiện này đưa ra một lộ trình tiềm năng để chỉnh sửa gen của các tế bào tủy xương mà không cần các quy trình cấy ghép thông thường. Theo đó, đầu tiên phải tìm một người hiến tặng tủy xương phù hợp hoặc thiết kế lại các tế bào của chính bệnh nhân bên ngoài cơ thể trước khi cấy ghép lại và không cần hóa trị hoặc xạ trị để chuẩn bị tủy xương trước khi cấy ghép.

Các tác giả cho rằng: “*Những phát hiện này có khả năng biến đổi liệu pháp gen theo hai cách. Thứ nhất, chữa trị các rối loạn đơn gen, bao gồm các rối loạn tạo máu không ác tính (bệnh huyết sắc tố, thiếu máu bẩm sinh hoặc giảm tiểu cầu và suy giảm miễn dịch) và các bệnh không tạo máu (xơ nang, rối loạn chuyển hóa và bệnh cơ) bằng cách truyền tĩnh mạch đơn giản thuốc di truyền nhắm đích. Thứ hai, việc thực hiện những thay đổi trạng thái cụ thể của loại tế bào in vivo với rủi ro tối thiểu có thể cho phép các thao tác sinh lý học trước đây không thể thực hiện.*”

Các nhà khoa học cho rằng cần thực hiện thêm các nghiên cứu tiền lâm sàng để xác nhận tính an toàn và hiệu quả của kỹ thuật mới trước khi thực hiện trên người.

N.P.D (NASATI), theo <https://www.independent.co.uk/news/science/philadelphia-usa-b2383200.html>, 27/7/2023

Nguồn: Cục Thông tin Khoa học và Công nghệ Quốc gia.