Cystic Fibrosis Trust

جینیاتی تھیراپیز کو سمجھنا

جینیاتی تھیراپیز سسٹک فائبروسس (CF) کے طبی ٹرائلز میں زیرِ تحقیق ایک نئی قسم کا علاج ہے۔ کسی ٹرائل میں حصہ لینے پر غور کرنے سے پہلے یہ سمجھنا ضروری ہے کہ اس میں کیا شامل ہے۔ ہم نے ذیل میں جینیاتی تھیراپیز کے بارے میں کچھ عام سوالات کے جوابات دینے کی کوشش کی ہے۔

جینیاتی تھیراپیز کیا ہیں؟

جینیاتی تھیراپیز وہ ادویات ہیں جو پروٹین کی فعال نقلیں بنانے کے لیے ڈیزائن کی گئی ہیں۔ وہ ایسی کیفیات کے لیے تیار کی جا رہی ہیں جہاں جین میں متغیرات موجود ہوں، جیسا کہ CF میں موجود ہوتے ہیں۔

انہیں CF کے لیے کیسے استعمال کیا جا سکتا ہے؟

CF کے حامل لوگوں میں CFTR جین میں متغیرات موجود ہوتے ہیں جو جسم کی CFTR پروٹین پیدا کرنے کی اہلیت کو متاثر کرتے ہیں۔

CF جینیاتی تھیراپیز جسم کو CFTR جین سے CFTR پروٹین کی فعال نقلیں بنانے میں مدد کر سکتی ہیں۔ مختلف قسم کی جینیاتی تھیراپیز مختلف طریقوں سے ایسا کرتی ہیں۔

Uniting for a life unlimited

کون فائدہ اٹھا سکتا ہے؟

جینیاتی تھیراپیز CF کے حامل ہر شخص کو فائدہ پہنچانے کی صلاحیت پیش کرتی ہیں۔ اس میں وہ لوگ، جیسا کہ نایاب CFTR کی اقسام کے حامل لوگ شامل ہیں جو CFTR ماڈیولیٹرز سے فائدہ اٹھانے سے قاصر ہیں۔

تاہم، کسی بھی نئے ٹرائل کی کوئی ضمانت نہیں ہوتی اور اس سے پہلے کہ ہم ان کو CF کے معیاری علاج کے طور پر دستیاب دیکھیں ممکن ہے کہ کافی وقت لگ جائے۔

کیا یہ تھیراپیز صرف پھیپھڑوں پر کام کریں گی؟

یہ ابتدائی طبی ٹرائلز علاج کو سانس کے ذریعے تھیراپی کے طور پر فراہم کریں گے، جس کا مقصد CF کے حامل لوگوں کے پھیپھڑوں کو زیادہ صحت مند بنانا ہے۔ ہم ابھی تک نہیں جانتے کہ کب یا کیسے ہم ایسی جینیاتی تھراپیز دیکھ پائیں گے جو جسم کے دیگر حصوں کو ہدف بنا سکیں۔

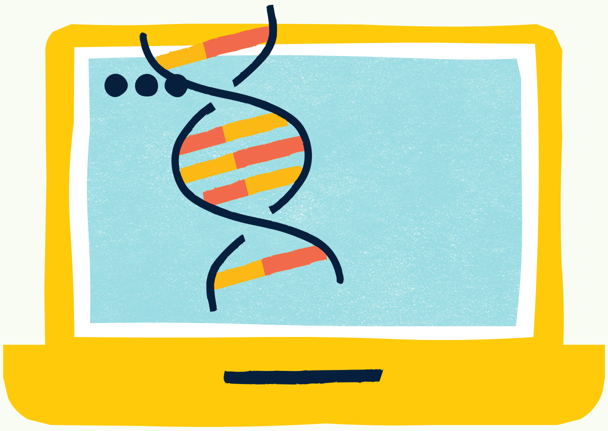
اس اقسام کے ٹرائلز میں کون حصہ لینے کے قابل ہو سکے گا؟

ہم امید کرتے ہیں کہ نایاب CFTR کی مختلف اقسام کے حامل لوگوں کو اگلے چند سالوں میں جینیاتی تھیراپی کے طبی ٹرائلز میں حصہ لینے کا موقع مل سکتا ہے۔ ہر انفرادی ٹرائل میں حصہ لینے کے مختلف تقاضے ہوں گے۔ اگر یہ ٹرائلز کامیاب ہو گئے، تو مستقبل میں CF کے حامل ہر فرد کے لیے بڑے ٹرائلز منعقد کیے جا سکتے ہیں۔

جینیاتی تھیراپی کے ٹرائل میں شامل ہونے کا طریقہ

ہم **cysticfibrosis.org.uk/trialstracker** پر اپنے ٹرائلز ٹریکر میں جینیاتی تھیراپیز کے مملکت متحدہ میں کھلنے والے تمام طبی ٹرائلز کی فہرست شائع کریں گے

اگر آپ کسی ٹرائل میں حصہ لینے میں دلچسپی رکھتے ہیں، تو اپنی طبی ٹیم سے بات کریں، ٹریکر میں درج ٹرائل کے رابطہ کار سے رابطہ کریں یا ہمیں **clinicaltrials@cysticfibrosis.org.uk** پر ای میل کریں



جینیاتی تھیراپیز کے بارے میں مزید معلومات حاصل کریں

ہم نے ایک آن لائن معلوماتی وسیلہ بنایا ہے تاکہ اس بارے میں مزید وضاحت کرنے میں مدد ملے کہ جینیاتی تھیراپیز کیا ہیں اور ٹرائلز میں کیا شامل ہو سکتا ہے، جن میں درج ذیل شامل ہیں:

- کثرت سے پوچھے گئے سوالات
- ویڈیوز
- ایک گلاسری۔

مزید معلومات کے لیے براہ کرم درج بالا QR کوڈ اسکین کریں

مزید معلومات کے لیے، ملاحظہ کریں
cysticfibrosis.org.uk/genetictherapies

© Cystic Fibrosis Trust 2025. برطانیہ اور ویلز (1079049) اور اسکاٹ لینڈ (SC040196) میں ایک خیراتی ادارے کے طور پر رجسٹر شدہ ہے۔ ضمانت پر محدود کمپنی، برطانیہ اور ویلز میں نمبر 3880213 رجسٹر شدہ ہے۔ رجسٹر شدہ آفس: 2nd Floor, One Aldgate, London EC3N 1RE.

Uniting for a life *unlimited*