



فهم العلاجات الوراثية

تعد العلاجات الوراثية نوع جديد من العلاج الخاضع للأبحاث ضمن التجارب السريرية للتليف الكيسي. من الضروري فهم ما تنطوي عليه المشاركة في التجربة قبل الخوض فيها فعليًا. حاولنا الإجابة على بعض الأسئلة الشائعة عن العلاجات الوراثية فيما يلي.

ما العلاجات الوراثية؟

العلاجات الوراثية هي أدوية مصممة لعمل نسخ تعمل بكفاءة من البروتين. وتُطور لحالات تعاني طفرات جينية مثل التليف الكيسي.

كيف تُستخدم في علاج التليف الكيسي؟

الأشخاص المصابون بالتليف الكيسي لديهم طفرات في جين منظم توصيل الغشاء التليفي الكيسي (CFTR) على نحو يؤثر في قدرة الجسم على إنتاج بروتين CFTR.

يمكن أن تساعد العلاجات الوراثية للتليف الكيسي الجسم على عمل نسخ تعمل بكفاءة من البروتين الذي ينتجه الجين منظم توصيل الغشاء التليفي الكيسي (CFTR). تعمل أنواع مختلفة من العلاجات الوراثية ذلك بطرق مختلفة.



مَن يمكنه الاستفادة من العلاجات الجديدة؟

يمكن أن تفيد العلاجات الوراثية لكل شخص يعاني من التليُّف الكيسي. ويشمل ذلك المرضى الذين لا يستفيدون من العلاجات المُعدَّلة لمُنظَّم توصيل الغشاء الكيسي (CFTR)، مثل الأشخاص الذين لديهم طفرات متحورة نادرة من الجين منظم توصيل الغشاء التليفي الكيسي (CFTR).

ومع ذلك، لا توجد ضمانات في أي تجربة جديدة، ولا زال الطريق طويلاً إلى أن تُؤدِّي هذه التجارب إلى علاجات متاحة فعلياً للتليُّف الكيسي.

هل ستعمل هذه العلاجات على الرئتين فحسب؟

ستقدم التجارب السريرية الأولية علاجاً بالاستنشاق لجعل رئتي الأشخاص المصابين بالتليُّف الكيسي أكثر صحة. لا نعرف بعد إمكانية ومتى سنرى علاجات وراثية تستهدف أجزاء أخرى من الجسم.

مَن يمكنه المشاركة في هذه الأنواع من التجارب؟

نأمل أن يحظى الأشخاص الذين لديهم طفرات نادرة بالجين المنظم لتوصيل الغشاء التليفي الكيسي (CFTR) بفرصة المشاركة في التجارب السريرية للعلاجات الوراثية خلال السنوات القليلة المقبلة. لكل تجربة متطلبات مختلفة للمشاركة. إذا نجحت هذه التجارب، قد تُجرى تجارب أكبر لكل شخص يعاني التليُّف الكيسي في المستقبل.

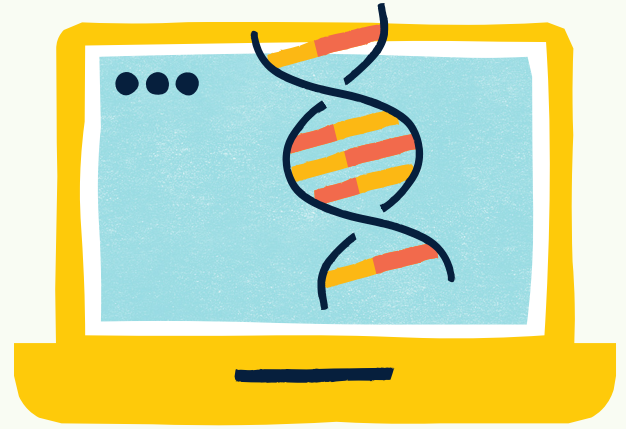
كيفية الاشتراك في تجربة العلاج الوراثي

سندرج كل التجارب السريرية للعلاجات الوراثية المتاحة بالمملكة المتحدة على أداة تتبع التجارب السريرية عبر

cysticfibrosis.org.uk/trialstracker

إذا كنت مهتماً بالمشاركة في واحدة من التجارب، تحدث إلى الفريق السريري أو تواصل مع منسق التجارب السريرية المذكور بأداة التتبع أو عبر البريد الإلكتروني

clinicaltrials@cysticfibrosis.org.uk



اكتشف المزيد عن العلاجات الوراثية

أعدنا مصدراً إلكترونياً للمعلومات للمساعدة على شرح المزيد عن العلاجات الوراثية والتجارب ذات الصلة، بما يتضمن:

- الأسئلة الشائعة؛
- المقاطع المصورة؛
- مسرد المصطلحات.

لمزيد من المعلومات، قم بزيارة

cysticfibrosis.org.uk/genetherapies



يُرجى مسح رمز الاستجابة السريعة لمزيد
من المعلومات