Cậu bé 11 tuổi bị điếc lần đầu tiên nghe được nhờ đột phá liệu pháp gen

(Dân trí) - Quy trình này hiện đang được thử nghiệm trên nhiều trẻ em hơn, nhằm mang lại cơ hội được nghe như người bình thường.



Phương pháp điều trị dựa vào đột phá liệu pháp gen đã giúp một cậu bé 11 tuổi lấy lại khả năng nghe (Ảnh: Getty).

Aissam Dam, một cậu bé 11 tuổi người Ma rốc bị mất thính giác bẩm sinh, đã trở thành bệnh nhân đầu tiên được điều trị bằng liệu pháp gen mới. Kết quả, lần đầu tiên trong đời cậu bé có thể nghe được âm thanh.

"Liệu pháp gen điều trị tình trạng mất thính lực là điều mà bác sĩ và các nhà khoa học trong lĩnh vực đã nỗ lực hướng tới trong hơn 20 năm", TS. John A. Germiller, Giám đốc Khoa Nghiên cứu Lâm sàng tại Bệnh viện Nhi Philadelphia (Mỹ), cho biết.

"Cuối cùng, liệu pháp này đã thành công", ông khẳng định.

Theo TS. Germiller, mặc dù liệu pháp hướng đến điều chỉnh sự bất thường ở một gen rất hiếm, nhưng những nghiên cứu này có thể mở ra cơ hội trong tương lai cho một vài trong số hơn 150 gen gây mất thính giác ở trẻ em.

Như trường hợp của Aissam Dam, cậu mắc một dạng điếc cực kỳ hiếm gặp được cho là chỉ ảnh hưởng đến khoảng 200.000 người trên toàn thế giới.

Nguyên nhân là do đột biến lặn ở gen otoferlin (OTOF), khiến cậu bé bị mất hoàn toàn thính lực ở cả 2 tai.

Trong quá trình phẫu thuật, màng nhĩ của cậu bé được nâng lên, nhằm tạo ra một khe hở hẹp dẫn vào ốc tai. Sau đó, một liều liệu pháp gen thử nghiệm gồm virus vô hại chứa các bản sao của gen OTOF bình thường được đưa trực tiếp vào tai trong của cậu bé.

Sau 4 tháng điều trị, lần đầu tiên trong đời cậu bé có thể nghe được âm thanh. Theo các bác sĩ, cậu bé nghe được tiếng ồn ào từ giao thông, tiếng người nói, và một số đạo cụ.

"Thính lực ở tai của Aissam Dam đã được điều trị và phục hồi ở mức độ nhẹ/trung bình", các bác sĩ cho biết.

Trên thực tế, liệu pháp phẫu thuật giúp thực hiện phương pháp điều trị này đã được TS. Germiller phát triển cách đây trên 10 năm, và từng được sử dụng cho một quy trình chẩn đoán khác ở trẻ nhỏ.

Bằng cách kết hợp những nghiên cứu này với liệu pháp gen tiên tiến từ Akouos - một công ty con của gã khổng lồ dược phẩm Eli Lilly & Company - các nhà khoa học đã lần đầu tiên thử nghiệm lâm sàng thành công.

Trong tương lai, khi có nhiều bệnh nhân ở các độ tuổi khác nhau được điều trị bằng liệu pháp gen này, các nhà nghiên cứu sẽ tìm hiểu thêm về mức độ cải thiện thính giác, cũng như liệu điều đó có thể được duy trì trong nhiều năm hay không.

Theo Iflscience