

Генотерапия вернула слух глухим мышам | La thérapie génique restaure l'ouïe de souris sourdes

Автор: Татьяна Гирко, , 09.07.2015.



© Rama/Wikimedia

Исследователи Федеральной политехнической школы Лозанны (EPFL), Boston Children's Hospital и Harvard Medical School сделали очередной шаг к лечению генетической глухоты.

|
Les chercheurs de l'EPFL, Boston Children's Hospital et Harvard Medical School franchissent un pas vers de futurs traitements de la surdité génétique.
La thérapie génique restaure l'ouïe de souris sourdes

Науке известны около 70 генов, мутация которых может привести к потере слуха. В большинстве случаев такие нарушения связаны с аутосомно-рецессивными и аутосомно-доминантными типами наследования. Ученые из Бостона и их коллеги из лозаннской лаборатории EPFL, чья статья была опубликована 8 июля в еженедельном медицинском журнале Science Translational Medicine, сосредоточили свое внимание на изучении гена TMC1, который в 4-8% случаев несет ответственность за развитие глухоты. Он кодирует белок, играющий центральную роль в работе слухового аппарата и позволяющий трансформировать звук в электрические сигналы, передаваемые в мозг.

В ходе эксперимента, проведенного сотрудниками бостонской больницы Children's Hospital и медицинского факультета Гарвардского университета (Harvard Medical School), была протестирована эффективность генотерапии в восстановлении слуха глухих мышей. Подопытных животных разделили на две группы: одну, у которой ген TMC1 полностью отсутствовал, что представляет собой модель рецессивной глухоты (дети-носители двух мутировавших генов TMC1 страдают от глубокой потери слуха уже в возрасте 2 лет), и вторую, получившую название «Бетховен», которая обладала отклонением лишь в одной аминокислоте (что провоцирует прогрессирующую глухоту начиная с 10-15 лет).

Ученые имплантировали глухим мышам здоровый ген при помощи генетически модифицированного вируса (аденоассоциированного вируса 1), введенного параллельно с промотором – последовательностью ДНК, активирующей ген в волосковых клетках внутреннего уха.

В первой группе исследователи смогли вернуть волосковым клеткам способность реагировать на звук и производить некоторый электрический ток, восстановив активность на участке ствола головного мозга, отвечающем за слух. Перенесшие генотерапию мыши вынырнули из мира тишины: они, как и положено природой, воспринимали громкие резкие звуки, попав в специальный «бокс для подпрыгивания», в то время как их глухие сородичи оставались неподвижными, не обращая внимания на шум от 80 децибел и выше.

В модели доминантной глухоты генотерапия имела положительные последствия на клеточном и мозговом уровнях, но оказались лишь частично эффективной для восстановления слуха по итогам теста с подпрыгиванием.

В процессе проведения исследования ученые изучили разные типы аденоассоциированного вируса (который используется также в изучении способов лечения слепоты, сердечно-сосудистых заболеваний, мышечной дистрофии и других болезней) и промотора, что позволило им подобрать наиболее эффективную комбинацию. Наблюдения над подопытными мышами будут продолжаться в течение двух месяцев, чтобы убедиться, что положительный эффект от генотерапии не исчезает с течением времени.

«Сегодня при глубокой потере слуха, в том числе вызванной рецессивной формой

TMC1, чаще всего используются слуховые аппараты, которые не всегда достаточно эффективны, или [кохлеарные импланты](#), – отмечает Маргарет Кенна, специалист по генетической потере слуха бостонского Children’s Hospital. – Кохлеарные аппараты работают хорошо, но собственный слух все же лучше с точки зрения различных нюансов, позволяющих различать голос, музыку и фоновый шум и определять направление звука. Все, что может стабилизировать или улучшить слух в раннем возрасте, вызывает настоящий энтузиазм. Это значительно улучшит способность страдающего нарушением слуха ребенка учить язык и говорить на нем».

Авторы исследования считают, что другие формы генетической глухоты также могут оказаться восприимчивы к предложенной стратегии лечения. Исследователь Гарвардского университета Джеффри Холт надеется, что клинические испытания генотерапии для исправления мутации гена TMC1 начнутся через 5-10 лет.

Статьи по теме

[EPFL и Гарвард обнародовали совместную программу исследований](#)

[Слуховые аппараты больше не Swissmade?](#)

[Старые и новые опасности для слуха](#)

[«Из-за шума мы становимся немыми»](#)

Source URL: <https://nashagazeta.ch/news/sante/19963>