

Genterapi för att bota döva barn

24 oktober 2023

Foto: Adobe stock

Ett nytt genterapiförsök som syftar till att hjälpa barn med svår hörselnedsättning på grund av en genetisk variation i OTOF-genen är på väg att införas. Upp till 18 barn under 18 år från Storbritannien, Spanien och USA kommer att inkluderas i studien och följas upp under fem år. Syftet med studien är att utvärdera om genterapi kan förbättra barnens hörselkvalitet i jämförelse med traditionella cochlea implantat.

Hörselnedsättning som orsakas av variationer i OTOF-genen resulterar i att hårceller i innerörat inte kan kommunicera korrekt med hörselnerven, vilket leder till svår hörselnedsättning från födseln. Genterapin kommer att administreras genom en injektion i örats snäcka med hjälp av ett modifierat virus. Injektionen förväntas bli en mer permanent lösning för hörselnedsättning jämfört med traditionella hörselhjälpmedel.

Barnen i studien kommer att få genterapi i olika doser enligt en noggrann plan. Om genterapin inte är effektiv efter sex månader, kommer familjerna att ha möjlighet att välja att operera cochlea implantat.

Studien stöds av National Institute for Health and Care Researchs kliniska forskningsavdelning och biomedicinska forskningsavdelning. Forskarna kommer att följa barnen under en femårsperiod och förväntar sig att de första resultaten kommer att offentliggöras i februari nästa år.

Professor Manohar Bance, chefsutredare för studien vid Cambridge University Hospitals NHS Foundation Trust, säger att det är viktigt att ingripa tidigt, eftersom barns hjärnor utvecklas snabbt. Om genterapin är framgångsrik för behandling av OTOF-relaterad hörselnedsättning, kan den öppna dörren för behandling av andra genetiska hörselnedsättningar. I USA, Storbritannien, Tyskland, Frankrike, Spanien och Italien tros omkring 20 000 personer ha en hörselnedsättning orsakad av OTOF-mutationer, vilket understryker behovet av framgångsrika behandlingsalternativ. Samtidigt som man betonar att dövhet inte är ett hinder för vare sig prestation eller lycka.

Tine Hedin

nyhet@teckenbro.com