

Genterapi ger 11-årig pojke hörseln tillbaka

7 februari 2024

Foto: Adobe stock

Vid barnsjukhuset Philadelphia, USA, har kinesiska forskare genomfört genterapi på sex barn, för att ge dem hörseln tillbaka. Den första att behandlas var en 11-årig pojke från Marocko, Aissam Dam, som har en medfödd dövhet orsakad av en genmutation. Genterapin, som innebär att den muterade genen som påverkar hörseln ersätts. Behandlingen visade positiva resultat hos fem av de sex barnen och resultaten publicerades nyligen i den vetenskapliga tidskriften The Lancet.

Aissam Dam, som föddes med en defekt i OTOF-genen, har varit döv fram tills behandlingen. Genterapin använde ett ofarligt virus för att introducera den fungerande genen i innerörat, vilket resulterade i en förbättrad hörsel hos barnen. Resultaten visade att barnens hörsel förbättrades 26 veckor efter behandlingen.

Det finns drygt 150 gener som orsakar hörselproblem vid födseln, och det här är bara den första som vi har lyckats behandla, säger forskaren John Germiller till tidningen The New York Times. Det är alltså enbart den genen som de kan behandla nu. Totalt beror omkring två till åtta procent av all medfödd dövhet och hörselnedsättning på just den här mutationen.

Utifrån resultaten och att inga allvarliga långsiktiga biverkningar upptäckts planerar forskarna nu att testa på fler och yngre barn. Om resultaten blir bra kan det leda till ytterligare studier för andra former av medfödd dövhet. John säger att det enbart är OTOF-genen de kan behandla nu, ingen annan. Förhoppningen är att inom fem-tio år kunna behandla fler gener.

I och med den medicinska framgången lyfter kritiker fram etiska och kulturella frågor kring att "bota" dövhet samt kring den begränsade målgruppen för behandlingen. Dessutom kan uttryck som "att ge hörseln tillbaka" vara vilseledande då det inte nämns någonstans att barnen är fullt hörande.

Mona Riis

nyhet@teckenbro.com