

# Gen Tedavileri

Moleküler biyolojideki gelişmeler sayesinde en küçük canlılar olan virüslerin genetik yapısı değiştirilerek istenen maddeleri üretmeleri şeklinde programlanabilmeleri mümkün hale gelmiştir. Parkinson hastalığında "taşıyıcı virüsler" (viral vektör) adı verilen ve genetik olarak değiştirilmiş virüslerin beyne nakli ile ilgili çalışmalar sürmektedir.

En çok gelecek vadeden ise beyne viral vektörler aracılığı ile sinir hücrelerinin yaşamlarını uzatacak, onları hücre ölümünden koruyacak nörotrofik faktör adı verilen maddeleri sağlayan genlerin aktarımıdır.

Oldukça zahmetli ve araştırılması yıllar süren bu yöntemler ve benzerleri ile ilgili hem hayvan deneyleri hem insan çalışmaları sürmektedir.

# Aşı Çalışmaları

Parkinson hastalığında temel sorun beyin hücrelerinde ve özellikle de dopamin hücrelerinde alfa-sinüklein isimli bir proteinin birikmesidir. Bu proteinin beyinden temizlenmesi ile Parkinson hastalığının yavaşlatılabileceği veya durdurulabileceği öngörülmektedir. Bu amaçla ilk geliştirilen aşı "Affitope" birçok deneysel çalışmadan geçirildikten sonra Parkinson hastalarındaki ilk klinik araştırması başlamış ve halen sürmektedir. Önümüzdeki bir kaç yıl içinde sonuçları beklenmektedir.

Halen araştırılmakta olan bir diğer madde ise Fenilbutirat'tır. Bu madde genetik olarak Parkinson hastalığı geliştirmek üzere programlanmış deneysel hücre modellerinde koruyucu bir gene dönüşmekte ve biriken anormal proteinlerin temizlenmesini sağlamaktadır. Şu anda yeni teşhis konulmuş, ilaç tedavisi almayan 20 Parkinson hastası üzerinde bir çalışma sürmektedir. Bu bir ön çalışmadır ve başarılı olması durumunda daha fazla sayıda hasta ile yeni bir çalışma planlanacaktır.



## parkinson hastalığında gelecekteki tedavi yöntemleri



**UMUT VAR!**

## Mevcut Durum

Parkinson hastalığının tedavisi şu anda temel olarak ilaçlarla yapılmakta, ilaç tedavisi ile yeterli sonuç alınmadığında uygun hastalara cerrahi tedaviler (beyin pili-derin beyin stimülasyonu) uygulanmaktadır.

Parkinson hastalığı tedavisinde en büyük beklenti hastalığın ilerlemesini azaltacak ya da durduracak bir tedavi yönteminin geliştirilmesidir.

## Beklentiler

Son 15 yılda Parkinson hastalığının genetiği büyük oranda anlaşılmış ve hücre ölüm mekanizmalarının anlaşılması konusunda da ilerleme sağlanmıştır. Bu bilgi birikiminin tedavi arayışına yansması yeni ve hastalığı yavaşlatıcı-önleyici tedavi araştırmalarının artması şeklinde olmuştur:

- Kök hücre araştırmaları
- Hücre nakilleri
- Gen tedavileri ve büyüme faktörü tedavileri
- Aşı araştırmaları

## Önümüzdeki Yıllarda Uygulanma Olasılığı Bulunan Tedavi Yöntemleri

### KÖK HÜCRE ARAŞTIRMALARI

Kök hücreler vücutta bulunan ve hemen her tip hücreye dönüşebilen hücrelerdir. Araştırmaların temel hedefi Parkinson hastalığında ölen dopamin hücrelerinin yerine kök hücreleri aracılığıyla yeni hücreler nakledebilmektir.

Halen kök hücre araştırmaları çok erken aşamadır ve Parkinson hastalığına sahip hastalarda yapılmış bir çalışma/araştırma söz konusu değildir. Gerçekçi bir tedavi hedefi gibi görünen kök hücre tedavisinin önündeki bazı ciddi sorunlar vardır ve bu sorunların aşılması için zamana ihtiyaç vardır.

Unutulmamalıdır ki şu an için Parkinson hastalığında kök hücre tedavisi söz konusu değildir. Yasal boşluklardan yararlanılarak bazı ülkelerde kök hücre tedavisi uyguladığını iddia eden merkezler vardır. Parkinson Hastalığı Derneği hastaların dikkatli olmalarını ve bu konudaki gelişmeleri hekimlerinden öğrenmelerini önermektedir.

### HÜCRE NAKİLLERİ

Parkinson hastalığı tedavisinde yıllardan beri bilim adamlarının ilgisi beyne dopamin hücrelerinin başka kaynaklardan elde edilerek nakledilmesi yönünde olmuş ve bu yönde araştırmalar yapılmıştır.


Avrupa'da oluşturulan bir konsorsiyum (TransEuro Consortium) tarafından hücre nakil çalışmalarına tekrar başlanmış, 2012 yılında ilk hastaya hücre nakli yapılmıştır. Halen devam eden bu çalışmanın sonuçları önümüzdeki bir kaç yıl içinde açıklanacak ve olumlu olması durumunda bu yöntem yeni bir tedavi olarak gündeme gelebilecektir.

## UMUT VAR!

Parkinson hastalığının nasıl oluştuğu, genetik nedenleri ve hücresel mekanizmaları anlaşıldıkça yeni tedavi olasılıkları gündeme gelmektedir.

Yeni bir tedavi yönteminin hastaların kullanımına girmesi süreci yıllar süren kapsamlı araştırmaları gerektirmektedir.

Süren çalışmalar önümüzdeki dönemde Parkinson hastalığında yeni tedavilerin bulunması için umut vericidir.



www.parkinsonderneği.com