

Tényleg ez lehet a jövő?

Ha olyan kérdés foglalkoztat, mint „A génterápia valóban a jövőt jelenti-e? ”, bizonyára arra is kíváncsi vagy, hogy mindez mikor, hol és miért született, kinek az agyament ötlete volt, jó-e ez nekünk satöbbi, satöbbi... Szóval, azt szeretnéd, hogy írjam le pontról pontra, betűről betűre azt, ami a könyvekben áll, mintha Te nem tudnád ugyanezt elolvasni a Webbetegről... Kösz, nem. Inkább elmesélem azt, hogy Alsógénfalván, hogyan mennek a dolgok, mit gondol a „nép”, és mi játszódik le az emberek között nap, mint nap.

-Ezek a nyavalyások! Beszélnek sületlenségeket! - kiabálta a pocakos úr a kerítés mögül, aki a cukormentes kólától ázott újságlapokból próbálta a szavakat kivenni, és kontextusba helyezve értelmezni őket.

-Jocó bácsi, baj van? Miért kiabált? - kérdezi egy vékony, dallamos hang a nagy, egykor bükkfa színű, ma már kopottas kerítés mögül.

Az öregúr tárva nyitva hagyta az ajtót, utat engedve frissen sült pogácsa illatának, amit egy gondos feleség két keze munkája tudhatott magáénak. Marika néni csinálta a környék legízletesebb süteményeit, és ezt mindenki tudta. Még az a 13 éves kis tudóspalánta is, aki az imént zavarta meg a szomszédot, és akit tudat alatt az a remény csalogatott ki, hogy megkínálják a harapnivalóval, és talán hall vagy mondhat egy-két izgalmas történetet.

-Jajj, Viola! Drága gyermek, ezt Te nem értheted. Ezek olyan tudományos témák, még én sem értem igazán, de egy biztos, ennek a dolognak a szeme se áll jól! - mondta Génessy H. József, akinél - nem csak a helyi legenda szerint - nem volt a bolygónkon szkeptikusabb ember, bár professzori címe nem erről árulkodott. Az irigyei azt beszélték, olyan öreg, hogy mikor a Földet még laposnak gondolták az emberek, ő azt vallotta, hogy gömb alakú, és mikor már mindenkit meggyőztek, hogy valójában forgási ellipszoid, akkor ő már a geoid hívők táborát erősítette.

-Óóó, már értem! Megint a Föld alakjáról olvas, igaz?

-Ez sokkal rosszabb, Aranyom! A génterápiáról! Hihetetlen dolgokkal traktálják szegény fejünket, és senki nem tesz semmit! Azt írják, ez lehet a jövő... na persze, hiszem, ha látom!

-De Jocó bácsi, ebben tényleg van valami. Pont most olvastam a könyvtárban a „Feltörekvő orvostudomány ifjú kalandoroknak” című lexikont, és abban írtak róla. Először

nem adtam neki túl sok esélyt, de kellemesen csalódtam, és elmorfondíroztam magamban: Ebben lehet a jövő? Így hát tovább olvastam, és szilárdan kijelenthetem, hogy IGEN!

-Na, ezt nem veszem be. Mondd, akkor mi az, ami ennyire megfogott téged ebben az igen vadul hangzó témában? – dünnyögte felháborodottan az öregúr.

Nem ez volt az első alkalom, hogy Viola és Jocó bácsi nem értett egyet, de minden alkalommal próbálták meggyőzni egymást az igazukról. Múltkor például a vakcinák hatékonyságát firtatták, de Viola részéről eredménytelennek bizonyult a vita. Egyedül Marika néni élvezte a diszkurzust, aki nagyokat hahotázott férje makacsságán és a gyermek hiába való erőlködésén.

-Egy feltétellel... - mondta bátran.

-Még feltéteket is szabsz, mi? Na, halljam. - nevetett az öreg, és elmosolyodott.

-Csak akkor mondom el, hogyha kaphatok a pogácsából...

De végig se tudta mondani, mert Marika néni amint meghallotta a hangját, egy kosárnyival kínálta.

-Oh, köszönöm szépen! Akkor nem számít! - És azzal a lendülettel rohant át a szomszéd kertbe. Mikor kényelmesen elhelyezkedett a mohazöld kemping széken és beraktározott az ölébe pogácsából, nekiveselkedett a reménytelen küldetésnek: Meggyőzni Jocó bácsit.

-Nos, minden ott kezdődött, hogy volt két okos orvos, David Williams és David Nathan, akik az 1980-as évek elején közzétettek egy tanulmányt, amely bemutatta, hogy egy vírus segítségével géneket lehet beilleszteni az őssejtek DNS-ébe.

De mit is jelent ez? Az őssejteknek az a figyelemre méltó képességük van, hogy számos különböző sejté tudnak fejlődni a szervezetben. Javítórendszerként szolgálnak, végtelen számban tudnak osztódni, hogy lecserélhessék, pótolják a beteg sejteket. Amikor az őssejt osztódik, a keletkező új sejtek válaszútra érnek: vagy őssejtek maradnak, vagy pedig egy másfajta funkciójú sejté válnak, olyanná, mint például egy izomsejt vagy egy vörösvérsejt. Ebből fakad, hogy az őssejtek a rákos megbetegedések kezelésétől kezdve, a baleseteket követő regeneráción át, az égési sérülések orvoslásáig az egészségügy számos területén hasznosíthatók. De nem ez a fontos itt nekünk.

A DNS a sejtekben lévő örökítőanyag, ami a géneket tartalmazza, azt a kódot, amely meghatározza a testünk formáját, működését, hajunk és szemünk színét... Illetve, olyan információkat tárolnak, melyek szükségesek azoknak a fehérjéknek az előállításához, melyek szervezetünk növekedését, működését befolyásolják, szabályozzák. Ha egy gén hibás, elképzelhető, hogy egyáltalán nem keletkezik egy bizonyos fehérje, vagy éppen hibás fehérje jön létre, melyek így betegségek kialakulásához vezethetnek. A génterápia célja, hogy a hibás

gént pótolja, módosítsa vagy küsse kívülről bejuttatott nukleinsavakkal. A szükséges gén sejtbe történő bejuttatásához valamilyen hordozó, úgynevezett vektor szükséges, ami a legtöbb esetben valamilyen vírus. A nukleinsavak bejuttatására más módszerek is vannak, ilyen például a liposzómák alkalmazása. Ezek apró, gömbszerű molekulák, melyeknek a belsejében egy vízcsepp van, és azért fontosak az orvostudomány számára, mert így bizonyos hatóanyagokat könnyen, és hatékonyan el tudnak juttatni a szövetekbe.

Megállt egy pillanatra, majd boldogan konstataálta, hogy közönsége még kíváncsi, így hát folytatta.

- A hibás géneket ki lehet kapcsolni, hogy többé ne segítsék elő a kór létrejöttét, vagy az egészséges géneket be lehet kapcsolni, hogy megakadályozzák a betegségek kialakulását. Bizonyos betegségeknél, például daganatoknál, az immunrendszer nem támadja meg a beteg sejteket, mert nem érzékeli őket idegenként, ezáltal veszélyforrásként. A génterápia ilyen esetekben képes megtanítani az immunrendszernek azt, hogy mely sejtekkel kell harcolnia.

-Rendben, rendben eddig világos, de csak azt ne mondd, hogy ennek volt kézzelfogható eredménye is. Biztosan nem jó ez nekünk. Ez az izé olyan lényekké változtat minket, mint mutáns „kolibrifántok” vagy tudom is én micsodák, és ezt kihasználva akarnak még jobban kiszolgáltatottá tenni bennünket. Én ebből nem eszem!

Viola elképedve ült a székben. Tudta, hogy nehéz dolga lesz, de talán most realizálódott benne, hogy ez az ember nehezebb eset, mint gondolta...

-Szívem, hagyjad már szóhoz jutni szegény lányt! Folytasd Drágám! - mondta a néni kedvesen.

- Igazából volt már rá eset, hogy működik, nem is egyszer. 1990-ben volt egy 4 éves kislány, Ashanthi de Silva, aki arról lett híres, hogy övé volt az első génterápiás sikertörténet. Súlyos kombinált immunhiányban (SCID) szenvedett, adenzin-deamináz (ADA) enzim hiánya miatt. ADA nélkül a T-sejtjei elhaltak, így nem tudott harcolni a fertőzésekkel szemben. Az utóbbiak olyan fehérvérsejtek, amik központi szerepet játszanak a sejt immunválasz működésében.

A kitérő után magyarázta tovább.

- Egy szintetikus ADA enzim injekciója segített neki egy darabig, de egy idő után már ez sem nyújtott javulást. Az orvosok úgy döntöttek tehát, hogy egy egészséges ADA gént juttatnak a vérsejtjeibe, egy fertőzésre képtelen vírus segítségével, így az nem tudott szétterjedni a szervezetében, és megbetegíteni a lányt. A ma már harmincas éveiben járó de Silva szerencsére jobban van, betegségéhez képest aktív és egészséges életet él.

A lány mély levegőt vett.

- Az első gyógyulásokról 2000-ben számoltak be, de igazat adok Önnek... Olvastam arról is, hogy valóban lehet káros hatása és okozhat nagyon súlyos szövődményeket is... Néhány éven belül ugyanis 20 kezelt gyermek közül ötnél rák alakult ki. Sajnos a szervezetbe jutó vírusvektorok általában nem egyfajta sejtet céloznak meg, ezért a terápia során előfordulhat, hogy a beteg sejtek helyett egészséges sejtek is áldozatul esnek, melynek hatására azok betegszenek meg, és következményképp daganatok alakulhatnak ki. Ebben az esetben is a T-sejtekbe szállító vírusvektor aktivált egy olyan gént, úgynevezett onkogént, ami leukémiát váltott ki náluk. Vannak olyan nem kívánt immunreakciók is, hogy az immunrendszer a bejuttatott vírusvektort kórokozóként ismeri fel és megpróbálja azt elpusztítani, ami gyulladással vagy szervi elégtelenséggel járhat. Előfordulhat, hogy a szervezetbe juttatott vírus visszanyeri fertőzőképességét és tovább rontja a beteg állapotát...

-NA! Megmondtam! - hümmögte a férfi.

Felesége mérges tekintetével csöndre intette.

-Józsi kérlek, Te is tudod, hogy kockázata minden orvosi beavatkozásnak van. Emlékszel történt olyan is, hogy valaki a fogorvosi székben került kómába... Mondd tovább nyugodtan Viola.

A kislány folytatta.

-Ez a kutatókat azonban nem riasztotta vissza, sőt mi több, a 2010-es évek elején a génterápia már a reneszánszát élte. A tudósok jobb vírusvektorokat fejlesztettek ki, szabályozó elemeket és fokozókat adtak hozzájuk, a gén aktivitásának irányítására. Ezek az elemek meghatározták, hogy a gén hol és mikor kapcsoljon be, és milyen szinten. Az új, módosított vektorok nem tévednek el a szervezetben, és nem váltanak ki immunválaszt. Egyesek olyan géneket szállítanak, amelyek rövid ideig működnek, majd kikapcsolják magukat. Mások olyan géneket hordoznak, amelyek hosszú ideig aktívak maradnak, és a sejtek osztódása során pedig az utódsejtekbe kerülnek.

-Hmmm. És ezt hogyan kellene elképzelnünk? – érdeklődött Marika néni.

-A génterápiás kezelések jó része kísérleti fázisban van, klinikai vizsgálat alatt áll. Csak akkor alkalmazzák, ha a szövődmények kockázata kisebb, mint a betegség okozta veszély. Úgy kezdődik a kezelés folyamata, hogy vért vesznek, vagy csontvelőt távolítanak el a csípőcsontból egy hatalmas tűvel. Ezután egy laboratóriumban a vérből vagy csontvelőből származó sejteket vírusnak vagy más típusú vektornak teszik ki, majd ezeket a sejteket visszafecskendezik a szervezetbe. A génterápia egy másik típusában a vírusvektort közvetlenül a vérbe vagy egy kiválasztott szervbe juttatják. De több más módszer is van bizonyára...

A férfi sóhajtott (volna), ha Viola gyorsan közbe nem szól.

-Jocó bácsi, tisztában vagyok vele, hogy ez a téma kétségtelenül vitatható, de szeretném azt is elmondani én miért látom benne a holnap reményeit. - kezdett megint bele a tudósjelölt kislány.

-Hallgatunk, Kedves! - mondta az öreg.

Viola elmosolyodott a „Kedves” megszólításra. Lehetséges, hogy jó úton haladna a meggyőzés felé?

-A könyvben benne volt az is, hogy ezzel az eljárással eddig kiket gyógyítottak meg, és az interneten utánanézv, megláttam, hogy soruk egyre csak bővült azóta:

Csomó olyan felnőtt, akiknek bizonyos típusú nagy B-sejtes limfómája volt, amely nem reagált más kezelésekre, de erre igen. – megállt, majd hozzátette. – A limfóma a fehérvérsejtek rosszindulatú, daganatos megbetegedése, ami az immunfunkciók csökkenésével járhat.

Emellett 2 év alatti kisgyerekek, akik gerincvelői izomsorvadásban szenvedtek, mára meggyógyultak.

25 év alatti fiataloknak, akiknek follikuláris limfómájuk kiújult, vagy nem reagált más kezelésekre, javult az állapotuk.

Ezenkívül 1 éves és idősebb gyermekek, akiknek ritka, öröklött látásvesztésük volt, mára szemükkel (is!) csodálhatják a világot.

12 évesek és idősebbek, akik sarlósejtes betegségben vagy béta-thalassemiában¹ szenvedtek, már egészségesebbek. Ez röviden azt jelenti, hogy a vérképzőrendszer nem működik megfelelően.

Továbbá 4 és 5 év közöttiek, akik Duchenne-izomdystrophiában szenvedtek és hibás DMD-génnel rendelkeztek, ma vígan játszanak és önfeledten kacagnak.

Az idős pár arcán látszott, hogy most vesztették el a fonalat, ezért gyorsan folytatta.

- Ez egy, az izomsejtek fokozatos pusztulásával járó örökletes betegség. A DMD-gén pedig kódol egy fehérjét², ami az izmok regenerálódásához, normális szerkezetének kialakításához szükséges.

6 hónapos és kicsivel idősebb kisbabák, akiknél disztrófiás epidermolysis bullosa okozta érzékeny, hólyagos bőrt, illetve sebeket kezeltek... Sikeresen!

És még sorolhatnám, milyen más hosszú, bonyolult latin szavakat magoltam be...

A kislány nagy levegőt vett, hogy összeszedje gondolatait.

¹ Vértképzőrendszeri betegség, hemoglobin globin láncát érinti.

² A fehérje neve disztrofin.

- Jocó bácsi, annyi, de annyi embernek segített és segíthet a terápia! Félelmetes belegondolni, hogy míg én tudományos témákkal tömöm a fejem, sok velem egyidős gyermek a betegségével küszködik, és csak remélni meri, lesz kiút. Talán meg fog gyógyulni... és egyszer végre valahára gondtalan lehet... Na, meg persze pogácsával teli szájjal tehet fel fura kérdéseket, és mondhat okosságokat a szomszédoknak.

És miért ne lenne kiút?

Ugye most már Maga is látja, hogy ez is lehet a jövő és van benne „potenciál”, ahogy szokta mondani? – nevetett a lány.

Az öregember megfogta Viola kezét és elmosolyodott.

-Igen, Aranyom. Tényleg ez lehet a jövő.

Majd beleharapott a pogácsába.

VÉGE.

A történet szereplői kitalált alakok, mindennemű egyezésük a valósággal csupán a véletlen műve. Ez alól kivételt képeznek azon kezeltek, akiknek nevük nem szerepel, és nem szereplőként vesznek részt. Fikció továbbá a helyszín és a főhős ismereteinek forrása, azaz a „Feltörekvő orvostudomány ifjú kalandoroknak” című lexikon.