

تناقش هذه الدراسة [2024](targeted gene therapy for rare genetic kidney diseases) استخدام طرق مختلفة من العلاج الجيني للعلاج لإصابات الكلى الوراثية النادرة. تؤدي أمراض الكلى إلى الفشل الكلوي مما يتطلب استعمال الغسيل الكلوي أو زراعة الكلى، كما تصاب الكلى بإصابات وراثية حيث يستخدم العلاج الجيني المحتمل لحل مثل هذه الأمراض التي تأثرت بعوامل وراثية. هدف الدراسة هو التطرق و اكتشاف أساليب العلاج الجيني الجديد و امكانياته المحتملة في علاج أمراض الكلى الوراثية النادرة و التي شملت استراتيجيات العلاج الجيني داخل الجسم In vivo / و خارجه ex vivo . تناولت الدراسة عدة أساليب مختلفة لتوصيل الجين المستهدف للكلى و التي شملت على الحقن الجهازى و الموضعي (الحالب ، microRNAs) كما ناقشت الطرق الممكنة و المحتملة من استعمال الخلايا الجذعية الدموية المعدلة جينياً كحامل لتوصيل الجين المستهدف إلى الكلى. توصلت الورقة لعدة نتائج من الدراسات ما قبل السريرية على نماذج حيوانية بأن العلاج الجيني in vivo و ex vivo لهم إمكانيات للعلاج للأمراض الوراثية للكلى مثل مرض متلازمة ألبورت و داء فابري و الكيسية و السيستينوزيس. سلطت الضوء على التحديات في توصيل الجين المستهدف للكلى ، أظهرت الدراسة نظرة شاملة عن التقدم في العلاج الجيني للأمراض الكلى النادرة الناجمة عن العوامل الوراثية حيث حددت الاستراتيجيات الرئيسية وطرق التوصيل المحتملة العلاجية كما أكدت على الإمكانيات الكبيرة للعلاج الجيني في معالجة أمراض الكلى الوراثية وإدارتها مما أعطى فرصة وأمل للمرضى بتجنب زراعة الكلى و المضاعفات المرتبطة بها.