



ما هو  
العلاج بالجينات؟



أصدره **الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH)** حقوق  
الطبع والنشر © لعام 2022 محفوظة لصالح  
الاتحاد العالمي للهيموفيليا.

تشجع مؤسسة الاتحاد العالمي للهيموفيليا على  
ترجمة منشوراتها وإعادة توزيعها للأغراض التثقيفية  
من قبل المؤسسات غير الربحية المعنية باضطرابات  
الهيموفيليا/النزف.

للحصول على إذن بإعادة طباعة هذا المنشور أو  
إعادة توزيعه أو ترجمته، يُرجى الاتصال بقسم  
«الأبحاث والتثقيف».

هذا المنشور متاح بتنسيق ملف PDF على  
الموقع الإلكتروني للاتحاد العالمي للهيموفيليا:  
[www.wfh.org](http://www.wfh.org).

يمكن أيضًا طلب نسخ مطبوعة من الموقع الإلكتروني  
للإتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH) أو من العنوان  
أدناه.

لا يشارك الاتحاد العالمي للهيموفيليا في ممارسة  
مهنة الطب ولا يوصي تحت أي ظرف من الظروف  
بمعالجة لأفراد معينين. ولا يقدم الاتحاد العالمي  
للهموفيليا (WFH) أي إقرارات، صريحة كانت أو  
ضمنية، تقيد بأن جرعات الدواء أو توصيات العلاج  
الأخرى الواردة في هذا المنشور صحيحة. ولهذه  
الأسباب، يوصى بشدة أن يسعى الأفراد إلى الحصول  
على استشارة من طبيب استشاري و/أو الرجوع إلى  
التعليمات الإرشادية المطبوعة التي تقدمها الشركة  
المنتجة للدواء قبل استخدام أي من الأدوية  
المشار إليها في هذا المنشور. لا يوافق الاتحاد  
العالمي للهيموفيليا على منتجات العلاج أو الجهات  
المصنعة؛ ولا تعد أي إشارة إلى اسم منتج موافقة  
من قبل الاتحاد العالمي للهيموفيليا (WFH).

الهاتف: 875-7944 (514)  
الفاكس: 875-8916 (514)  
E-mail: [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)  
[www.wfh.org](http://www.wfh.org)

**الاتحاد العالمي للهيموفيليا**

1425 René Lévesque Boulevard West  
Suite 1200, Montréal  
Québec H3G 1T7 CANADA

## المحتويات

1. الجينات - "لبنا بناء الحياة".....2
2. العلاج بالجينات كخيار علاجي محتمل للهيموفيليا...3
3. ما هي نتائج العلاج بالجينات؟.....8
4. ملخص.....8
5. ملحق.....9
6. أسئلة لطرحها على طبيبك قبل اتخاذ القرار بأخذ العلاج الجيني.....11
7. كيف يعمل العلاج بالجينات؟.....4
8. من هو المؤهل لتلقي العلاج بالجينات؟.....5
9. في التجارب السريرية.....5
10. اختيار تلقي العلاج بالجينات.....6
11. ما هي عملية تلقي العلاج بالجينات؟.....7

# ما هو العلاج بالجينات؟

## الجينات - "لبنة بناء الحياة"

مثل أي كائن حي آخر على هذا الكوكب ، يتكون البشر من **خلايا** ، لكل منها دور متخصص خاص بها. داخل كل خلية توجد **جيناتنا** ، وهي اللبنة الأساسية لبناء الحياة. يرث البشر جينًا واحدًا من كل والد على شكل كروموسوم. يتكون كل **كروموسوم** من مادة كيميائية عضوية تسمى الحمض النووي الريبي منقوص الأكسجين (**DNA**) وتوجد في نواة كل خلية أي "مركز التحكم" في الخلية.

الجينات عبارة عن أقسام من الحمض النووي تحتوي على تعليمات لإنتاج جزيئات معينة في الجسم ، وعادة ما تكون **بروتينًا**. تتحكم هذه البروتينات في كيفية نمو الجسم وعمله. كما أنها مسؤولة عن العديد من خصائصنا ، مثل لون العين وفصيلة الدم والطول وما إلى ذلك.

في كثير من الأحيان تحدث تغييرات في الحمض النووي (تعرف باسم **المتغير الجيني**)، لا تسبب التغيرات بمشاكل دائمًا. ولكن هناك أوقات يمكن أن يؤدي فيها التغيير إلى بروتين غير عامل، أو الكثير من البروتين ، أو عدم كفاية البروتين ، مما يؤثر على قدرة الجسم على العمل بشكل صحيح. تحدث العديد من الاضطرابات النادرة بسبب تغيرات في الجين أو الجينات التي تغير البروتينات بطريقة تجعلها معطلة. يمكن أن تكون هذه المتغيرات مورثة من جينات أحد الوالدين أو يمكن أن تكون جديدة ، مما يعني أن التغيير سيكون جديدًا على الشخص.



# العلاج بالجينات كخيار علاجي محتمل للهيموفيليا

الأشخاص المصابون بالهيموفيليا (PWH) يعانون من عدم تجلط الدم بشكل صحيح لأنهم يعانون من نقص في **عوامل تخثر** معينة - البروتينات التي تنتشر في الدم والتي تشكل التجلطات لمنع النزيف المفرط. ويرجع ذلك إلى المتغير الجينات في الحمض النووي الذي يحدث عادةً في الجين FVIII (الهيموفيليا A) أو الجين FIX (الهيموفيليا B)، والذي يمنع أجسامهم من تكوين عامل التخثر المناسب.

المعيار الحالي للرعاية لجميع الأشخاص المصابين بالهيموفيليا هو العلاج المنتظم (**الوقاية**) مع العلاج ببدائل عامل التخثر أو العلاج البديل غير العامل لمنع النزيف. ومع ذلك ، لا تحقق جميع أنظمة الوقاية توقعًا كاملاً للنزيف لجميع الأشخاص المصابين بالهيموفيليا ، ولا تزال الاحتياجات غير الملباة حول عبء العلاج قائمة.

العلاج بالجينات هو أسلوب واعد يستخدم مادة وراثية ، بدلاً من تطوير الأدوية التقليدية أو الجراحة ، لعلاج الاضطرابات الوراثية النادرة ، بما في ذلك الهيموفيليا. يتضمن الشكل الأكثر شيوعاً للعلاج بالجينات إدخال نسخة عمل من جين معيب إلى خلية مستهدفة لاستعادة وظيفة البروتين الطبيعية. الاضطرابات أحادية الجين (أحادية الجين) مثل الهيموفيليا ، والتي يُفهم تاريخها الطبيعي جيداً ، مناسبة بشكل مثالي للعلاج بالجينات.

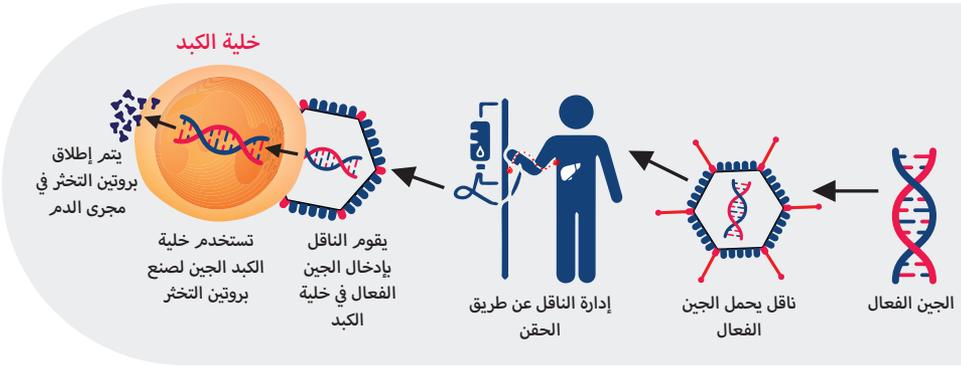
الهدف النهائي من العلاج بالجينات هو توفير حماية مستدامة من النزيف على مدى فترة زمنية أطول بكثير من أي نظام وقائي آخر ، من خلال الحقن لمرة واحدة ، وبالتالي تقليل أو إلغاء الحاجة إلى العلاج المنتظم. يوفر العلاج بالجينات أيضًا إمكانية لبعض الأشخاص المصابين بالهيموفيليا لتحقيق نتائج صحية أفضل ونوعية حياة أفضل من تلك التي يمكن تحقيقها من خلال العلاجات المتاحة حاليًا.

## كيف يعمل العلاج بالجينات؟

لقد «استعار» العلماء عملية من الطبيعة لإيصال نسخة عاملة أو وظيفية من الجين المختار إلى الخلايا في الجسم. تسمى هذه **أنظمة توصيل الفيروسات** ، والتي تستخدم القدرة الطبيعية لبعض الفيروسات - التي تطورت على مدى مليارات السنين - لتزويد الخلايا بالمادة بالجينات الجديدة. يتم اختيار الفيروسات بعناية وهندستها بطريقة تتجنب التسبب بالمرض.

بالنسبة للعلاج بالجينات في الهيموفيليا ، تعد **الفيروسات المرتبطة بالغدة (AAV)** حاليًا من بين أنظمة توصيل الفيروس الأكثر استخدامًا. يتم استخدام فيروس معدّل (يسمى **ناقل**) باعتباره «وسيلة» لنقل الجين الوظيفي F8 أو F9 (يسمى **الجين المحور**) إلى خلايا الكبد (تسمى **الخلايا الكبدية**) عن طريق الحقن الوريدي لمرة واحدة. يلعب الكبد دورًا رئيسيًا في تخثر الدم حيث يتم إنتاج غالبية عوامل التخثر (توليفها)، وبالتالي فإن خلايا الكبد هي الخلايا المستهدفة.

بمجرد أن يصبح الجين المحول داخل خلايا الكبد ، تحدث خطوتان أساسيتان في التعبير بالجينات تعرفان **بالنسخ والترجمة**. هذه هي العمليات التي تمر بها الخلايا لقراءة تعليمات الحمض النووي للجين (النسخ) وإنتاج البروتين (الترجمة). ستستخدم الخلايا الجين المعدّل الجديد لإنتاج بروتينات التخثر الوظيفي FVIII أو FIX وإطلاقها في مجرى الدم.



لا يغير الجيل الأول من العلاجات بالجينات للهيموفيليا باستخدام AAV تسلسل الحمض النووي الموجود داخل نواة الخلية. ولذلك، مع أن الأشخاص المصابين بالهيموفيليا الذين يتلقون العلاج بالجينات قد لا يعانون من أعراض الزيف، فإنه لا يزال بإمكانهم «نقل» الجين المعيب الذي يسبب الهيموفيليا لأطفالهم.

# من هو المؤهل لتلقي العلاج بالجينات؟

## في التجارب السريرية

تتوفر حاليًا العديد من منتجات العلاج بالجينات للهِموفيليا كجزء من تجربة سريرية. هناك العديد من التجارب الجارية مع نواقل مختلفة قائمة على AAV على الرغم من أن كل تجربة لها معاييرها الخاصة ، بشكل عام ، فإن المشاركين المؤهلين هم:

- الذكور الذين تزيد أعمارهم عن 18 عامًا.
- تم تشخيص **حالتهم باعتدلة** (أقل من 2٪ من مستويات عامل التخثر الطبيعي) أو **شديدة** (أقل من 1٪) بالهِموفيليا A أو B الذين يتمتعون بصحة جيدة.

حاليًا ، لا تشمل التجارب السريرية للعلاج بالجينات الإناث المصابات بالهِموفيليا أو المشاركين دون سن 18 عامًا. لمعرفة المزيد عن التجارب السريرية للعلاج بالجينات للهِموفيليا ، يمكن للأشخاص المصابين بالهِموفيليا مناقشة المشاركة مع مركز علاج الهِموفيليا.

## بمجرد الموافقة عليه كعلاج

يجب أن تتم الموافقة على العلاج بالجينات للهِموفيليا A أو B من قبل وكالة تنظيمية ، مثل إدارة الغذاء والدواء (FDA) في الولايات المتحدة أو وكالة الأدوية الأوروبية (EMA) في الاتحاد الأوروبي. تقوم الوكالات التنظيمية بتقييم الأدوية المبتكرة وترخيصها للاستخدام في بلدان / أسواق معينة. تمت الموافقة على أول علاج للعلاج بالجينات للهِموفيليا A من قبل وكالة الأدوية الأوروبية في أغسطس 2022. ستحدد الهيئات التنظيمية معايير الأهلية للأشخاص المصابين بالهِموفيليا لتلقي العلاج بالجينات كخيار علاجي ، والذي من المتوقع أن يكون مشابهًا لتلك المعايير المعتمدة في التجارب السريرية.

تستمر الأبحاث والتجارب السريرية في مجال العلاج بالجينات بطموح جعل هذه العلاجات متاحة لعدد أكبر من الأشخاص ، بما في ذلك الأطفال ، والأشخاص الذين يعانون من تشخيص خفيف أو معتدل ، وأولئك الذين لديهم تاريخ أو يعيشون مع المضطبات.

## اختيار تلقي العلاج بالجينات

يمكن أن يغير قرار تلقي العلاج بالجينات نمط حياة المصاب ويجب أن يدرس بعناية. الجيل الأول من العلاج بالجينات للهِموفيليا القائم على AAV هو علاج نهائي. هناك شكوك تحيط بسلامة وفعالية العلاجات بالجينات على المدى الطويل ، وذلك ببساطة لأن العلاجات بالجينات لم تُعطى إلا خلال السنوات الخمس الماضية.

نظرًا لأننا نجمع البيانات عن المرضى الذين تلقوا العلاج بالجينات ، فإن فهمنا لملف تعريف الأمان والفعالية على المدى الطويل سوف يتحسن. لذلك ، فإن العلاج بالجينات له تداعيات محتملة على الأشخاص المصابين بالهِموفيليا وعائلاتهم ، الآن وفي المستقبل.

يشجع الاتحاد العالمي للهِموفيليا بشدة الأشخاص المصابين بالهِموفيليا على مناقشة فوائد ومخاطر العلاج بالجينات مع الطبيب المعالج وفريق الرعاية متعدد التخصصات. بهدف الوصول إلى قرار قائم على الأدلة ويتوافق مع التفضيلات والمعتقدات والقيم الفردية للمريض. بعض الموضوعات التي يجب مناقشتها كجزء من عملية صنع القرار المستنيرة هي:

- الفعالية المتوقعة للعلاج بالجينات (أي الحماية من النزيف)
- المتانة المتوقعة للعلاج بالجينات (على سبيل المثال ، إلى متى سيستمر التعبير بالجينات)
- احتمال عدم عمل العلاج بالجينات (أي فقدان التغيير بالجينات)
- مخاطر السلامة المحتملة على المدى القصير والطويل (مثل التهاب الكبد والإصابة بسرطان الكبد)
- تفاصيل حول إجراء الحقن (أي التوقعات والمتطلبات)
- متطلبات المراقبة على المدى القصير والطويل مع مركز علاج الهِموفيليا (مثال: عدد الزيارات وعينات سوائل الجسم و خزعة الكبد وفترة المراقبة)

يجب على الأشخاص المصابين بالهِموفيليا التأكد من معالجة جميع أسئلتهم ومخاوفهم قبل اتخاذ القرار. أنشاء الاتحاد العالمي للهِموفيليا وثيقة لمساعدة الأشخاص المصابين بالهِموفيليا في مناقشة العلاج بالجينات مع فريقهم الطبي. راجع «أسئلة لطرحها على طبيبك قبل اتخاذ قرار بأخذ العلاج بالجينات» في الصفحة 11.

## ما هي عملية تلقي العلاج بالجينات؟

بمجرد اتخاذ قرار مبني على الأدلة بين الشخص المصاب بالهيموفيليا و مركزعلاج الهيموفيليا للمضي قدماً في العلاج بالجينات ، سيتم إجراء عدد من الاختبارات لتأكيد الأهلية. في حالة المشاركة في تجربة سريرية ، يجب مراجعة الوثائق المحددة المتعلقة بالتجربة السريرية والتوقيع عليها. إذا كنت تناول العلاج بالجينات كعلاج معتمد ، فقد يلزم تقديم موافقة مستنيرة أيضاً.

يتم إعطاء العلاج بالجينات على شكل حقن وريدي لمرة واحدة. يستغرق الأمر ما يصل إلى بضع ساعات لإدارته ، وعلى عكس حقن العوامل ، يجب أن يتم إجراؤها بواسطة موظفي الرعاية الصحية في مركزعلاج الهيموفيليا أو منشأة طبية متخصصة أخرى. سيتم مراقبة متلقي العلاج بالجينات بعناية لفترة فورية بعد الحقن، ثم على المدى الطويل لمتابعة أي مضاعفات. من المحتمل أن يكون لكل بلد بروتوكول سريري خاص به (أي إجراء متفق عليه) للمتابعة بعد الحقن.

## المراقبة والمتابعة طويلة المدى بعد العلاج بالجينات

بعد تلقي حقنة العلاج بالجينات ، سيُطلب من المصاب البقاء على اتصال وثيق مع مركز العلاج من خلال مواعيد المتابعة المجدولة بانتظام للتحقق من حالته الصحية والسلامة وتحديد مدى نجاح العلاج بالجينات. ستحدث هذه الزيارات كثيراً في البداية ثم تقل بمرور الوقت ، اعتماداً على الاستجابة للعلاج بالجينات.

من المهم للغاية أن يحضر المصابين الذين يتلقون العلاج بالجينات زيارات المتابعة المجدولة وأن يشاركوا بنشاط في برنامج المراقبة طويل الأجل. سيُطلب منهم الإبلاغ عن جميع الأحداث الصحية المتعلقة بالهيموفيليا ، مثل النزيف ومستويات العامل والأحداث الضائرة. للمساعدة في اكتشاف أي آثار صحية طويلة المدى غير متوقعة للعلاج، سيُطلب من المصاب أيضاً الإبلاغ عن أي تغيير في حالتهم الصحية طوال حياتهم.

سيتم دعوة جميع المصابين الذين يتلقون العلاج بالجينات من قبل فريق الرعاية الصحية الخاص بهم للمشاركة في سجل الاتحاد العالمي للهيموفيليا للعلاج بالجينات وهي مبادرة عالمية تهدف إلى جمع بيانات طويلة الأجل عن جميع الأشخاص الذين يتلقون العلاج بالجينات. ستعزز هذه البيانات فهمنا للعلاج بالجينات وتضمن وصول مجتمع الهيموفيليا إلى الأدلة في الوقت المناسب حول السلامة والفعالية على المدى الطويل لمنتج (منتجات) العلاج بالجينات المحدد. سيتم استخدام بيانات التسجيل أيضاً لتحسين البحث العلمي والسريري حول العلاج بالجينات وتطوير العلاجات بالجينات من الجيل التالي للمصابين في المستقبل. الموافقة على المشاركة في التسجيل لا تغير مستوى الرعاية التي سيتلقاها المصابين في مراكزالعلاج الخاصة بهم.

## ما هي نتائج العلاج بالجينات؟

مثل جميع العلاجات الجديدة ، يتم اختبار سلامة وفعالية العلاج بالجينات في التجارب السريرية البشرية. تم اختبار أنواع مختلفة من العلاجات بالجينات للهيموفيليا لأكثر من عقدين من الزمان. تقوم التجارب السريرية بتقييم سلامة وفعالية العلاج بالجينات مع متابعة تتراوح من بضع سنوات إلى أكثر من 10 سنوات ، اعتماداً على التجربة المحددة.

ومع ذلك ، على المدى الطويل تظل هناك العديد من الأسئلة التي لا يتم حلها بشأن **السلامة والتنوع والمتانة والفعالية** حتى عند الانتهاء من برامج التجارب السريرية. العلاج بالجينات هو تقنية جديدة وقد تكون بعض المخاطر غير متوقعة. يعمل الباحثون ومؤسسات الرعاية الصحية والسلطات العامة التي تنظر سلامة وفعالية المنتجات الطبية على ضمان أن العلاج بالجينات هو خيار علاجي آمن وفعال للمرضى. في الوقت الحالي ، لا يمكننا التنبؤ بدقة بمستوى بروتين العامل الذي سيتم التعبير عنه في المريض، إن وجد، من الجين الجديد، أو إلى متى سيستمر هذا المستوى من التعبير عن العامل.

## ملخص

يمثل العلاج بالجينات معلماً هاماً في تطوير علاج الأشخاص المصابين بالهيموفيليا. ويوفر إمكانية تحسين الصحة ونوعية الحياة من خلال الحقن لمرة واحدة. ومع ذلك ، لا يزال الباحثون والأطباء يجمعون البيانات حول سلامة وفعالية نهج العلاج الجديد هذا على المدى الطويل. على الرغم من أنه لم يتم تحديد مستوى معين لتحديد مستوى العامل من أجل «نجاح» العلاج بالجينات ، إلا أن الزيادات الطفيفة يمكن أن تحسن بشكل كبير نوعية حياة الشخص ، بما في ذلك تقليل نوبات النزيف والحاجة إلى العلاج الوقائي.

يعتبر اتخاذ قرار بتلقي العلاج بالجينات قراراً علاجياً مهماً قد يؤثر على النتائج الصحية للمرضى. ليس كل من قد يرغب في تلقي العلاج بالجينات مؤهلاً لتلقيه. يجب إبلاغ الأشخاص المصابين بالهيموفيليا بالمخاطر والفوائد المحتملة ، وإجراء مناقشات منتظمة مع فريق الرعاية الصحية وإشراك الأسرة والأحباء الذين يمثلون أهمية لهم في عملية صنع القرار. تظل الرعاية الشاملة المستمرة والمشاركة مع مجتمع اضطرابات النزيف أمراً مهماً للأشخاص المصابين بالهيموفيليا بعد العلاج بالجينات. تعد المتابعة مدى الحياة أمراً ضرورياً لفهم النتائج الحقيقية وتأثير العلاج بالجينات على الأشخاص المصابين بالهيموفيليا ولضمان الإدارة المثلى للصحة العامة للفرد.

## ملحق

### مسرّد للمصطلحات

|                                  |  |
|----------------------------------|--|
| <b>الفيروسات المرتبطة بالغدة</b> | فيروس غير ضار يستخدم لتوصيل الجين المحور إلى خلايا الكبد أثناء حقن العلاج بالجينات. عندما تتم إزالة المكونات الفيروسية للفيروس وإدخال الجين المحور ، يُعرف باسم ناقل.  |
| <b>الخلايا</b>                   | وحدات أو مقصورات صغيرة تنتشر في الجسم وتعتبر «اللبنة الأساسية» للحياة. يتكون جسم الإنسان من تريليونات من الخلايا. تحتوي كل خلية على 23 زوجًا من الكروموسومات والمواد الوراثية للجسم (DNA).                               |
| <b>كروموسوم</b>                  | هيكل شبيه بالخيط موجود داخل نواة كل خلية في أجسامنا ويتكون من الحمض النووي. يوجد 46 كروموسومًا في كل خلية بشرية مورثة من كل والد (مرتبة في 23 زوجًا).  |
| <b>عوامل التخثر</b>              | البروتينات التي تدور في الدم لتكوين الجلط. بدون عامل التخثر الثامن الهيموفيليا (A) أو العامل التاسع الهيموفيليا (B) ، يكون الأشخاص المصابين بالهيموفيليا عرضة للنزيف التلقائي بشكل رئيسي داخل الأنسجة والعضلات والمفاصل. |
| <b>بيانات</b>                    | المعلومات التي يتم جمعها أثناء الزيارات الطبية أو مباشرة من الأفراد ، بما في ذلك نوع العلاج بالجينات أو مستوى العامل.  |
| <b>الحمض النووي</b>              | يحتوي على التعليمات بالجينات لخلق ووظيفة الحياة. إنها مادة يرثها الناس من الوالدين.  |
| <b>متانة</b>                     | متعلق بمدى تأثير العلاج بالجينات إيجابيًا على مستوى عامل التخثر لدى الشخص.   |
| <b>فعالية</b>                    | وصف لقدرة العلاج على تحقيق النتائج المرجوة. بالنسبة للعلاج بالجينات للأشخاص المصابين بالهيموفيليا ، متعلق برفع مستويات عامل التخثر وتقليل أحداث النزيف.  |
| <b>العلاج بالجينات</b>           | علاج مرض وراثي عن طريق إدخال نسخة مصححة من الجين المسبب للمرض في الشخص.  |
| <b>الجينات</b>                   | أقسام الحمض النووي التي تحتوي على تعليمات لإنتاج جزيئات معينة في الجسم ، وعادة ما تكون بروتين.   |
| <b>البديل بالجينات</b>           | تغيير في تعليمات الحمض النووي للجين. عندما ينتج عن التغيير مرض ما ، يمكن أن يطلق عليه متغير مُمرض أو طفرة.   |
| <b>الجينوم</b>                   | المجموعة الكاملة لتعليمات الحمض النووي في جسم الإنسان (6.4 مليار حرف).   |

## الكيس الكبدي

نوع من الخلايا يشكل حوالي 60% من إجمالي الخلايا الموجودة في الكبد. بالنسبة للأشخاص المصابين بالهيموفيليا والذين يتلقون العلاج بالجينات المستند إلى الفيروسات المرتبطة بالعدّة، فإن الخلايا الكبدية هي الخلية المستهدفة وستنتج عامل تخثر جديد بمجرد إدخال الجين المحور.

## الوقاية

الاستخدام المنتظم والمستمر للعلاج لمنع حدوث نزيف عند الأشخاص المصابين بالهيموفيليا.

## بروتين

البروتينات هي ما تصنعه الخلايا وتتحكم في كيفية نمو الجسم وعمله. البروتينات مسؤولة أيضاً عن العديد من خصائصنا ، مثل لون العين وفصيلة الدم والطول وما إلى ذلك.

## النسخ والترجمة

العمليات التي تمر بها الخلايا لقراءة تعليمات الحمض النووي للجين والتعبير عن البروتين من الخلية المستهدفة.

## الجينات المعدلة وراثياً

نسخة وظيفية من الجين الموضوعه داخل الموجه ليتم إدخالها في الخلية المستهدفة.

## التعبير

كيفية تغيير تعبير عامل التخثر لدى الشخص بمرور الوقت أو بين الأشخاص بعد العلاج بالجينات.

## الموجه

وسيلة توصيل الجين الوظيفي (التحويل) إلى الخلية المستهدفة أثناء العلاج بالجينات.

# أسئلة لطرحها على طبيبك قبل اتخاذ القرار بأخذ العلاج الجيني

## هل انا مؤهل للعلاج؟

- هل أنا مؤهل لتلقي العلاج الجيني؟
- هل يمكن لطفلي تلقي العلاج الجيني؟
- هل هناك فرق بين العلاج الجيني للهِيموفيليا (أ) والهِيموفيليا (ب)؟
- ما هي خيارات العلاج الجيني المتاحة لي حاليًا من خلال التجارب السريرية؟
- ما هي خيارات العلاج الجيني المتاحة لي كعلاج معتمد؟
- ما هو العلاج أو (العلاجات) أو التجارب السريرية التي تنصحي بها؟
- هل يمكنك مساعدتي في العثور على مزيد من المعلومات لمساعدتي في فهم الخيارات المتاحة؟
- هل يمكنني التحدث مع الأشخاص الذين تلقوا العلاج الجيني للهِيموفيليا؟

## ما هي الفوائد والمخاطر المحتملة للعلاج الجيني؟

- ما مدى فعالية العلاج الجيني للهِيموفيليا؟
- هل سأظل بحاجة إلى استخدام العامل بعد العلاج الجيني؟
- ما هو مستوى العامل المتوقع لدي بعد العلاج الجيني؟
- إلى متى سيستمر التأثير على مستويات العامل لدي؟
- ما هي إمكانية أن يكون العلاج الجيني غير صالح لحالتي؟
- هل يمكنني إزالة العلاج الجيني من جسدي إن لم أجد رغبة فيه؟
- في حالة عدم نجاح العلاج الجيني ، فهل يمكنني تجربة علاج جيني آخر في المستقبل؟
- كيف يمكن أن تتغير حياتي اليومية بعد العلاج الجيني؟
- ما هي المخاطر المحتملة قصيرة المدى للعلاج الجيني؟ كم مرة ستحدث؟
- ما هي المخاطر طويلة المدى المحتملة للعلاج الجيني؟ كم مرة ستحدث؟
- ما هي الخطوات التي سيتم اتخاذها لمراقبة سلامتي؟
- هل أنا مُعرض لخطر الإصابة بمبطنات بعد العلاج الجيني؟
- هل سيؤثر العلاج الجيني على قدرتي على الإنجاب؟
- بعد تلقي العلاج الجيني ، هل يمكن لأطفالي في المستقبل أن يظلوا مصابين بالهِيموفيليا أو أن يكونوا حاملين للهِيموفيليا؟

## الأجراءات

- ما هي تكلفة العلاج الجيني؟
- ما هي الاختبارات التي يجب أن أجريها قبل تلقي العلاج الجيني؟
- كيف يتم العلاج الجيني؟
- هل يمكنك شرح خطوات الإجراء؟
- ما هي ماهية (شكل) الشفاء الناتج عن حقن العلاج الجيني؟
- ما نوع الدعم الذي سأحتاجه خلال فترة التعافي؟
- كيف ستتم مراقبة سلامتي أثناء وبعد العلاج؟
- كيف أعرف أن العلاج يعمل؟
- ما هي المدة التي يستغرقها العلاج الجيني في العمل؟
- كيف يمكنني التسجيل في سجل الاتحاد العالمي للهيموفيليا للعلاج الجيني؟

## أسئتي

(اكتب أي أسئلة قد تكون لديك لطبيبك)

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

يشكر الاتحاد العالمي للهيموفيليا الرعاية على دعمهم المالي  
السخي الذي سمح لنا بتطوير الموارد التعليمية للمرضى ومقدمي  
الرعاية الصحية على مستوى العالم.

B:OMARIN®



1425 René Lévesque Boulevard West  
Suite 1200, Montréal  
Québec H3G 1T7  
CANADA

الهاتف: (514) 875-7944

الفاكس: (514) 875-8916

wfh@wfh.org

[www.wfh.org](http://www.wfh.org)

