



การเปลี่ยนยีนในธาลัสซีเมีย

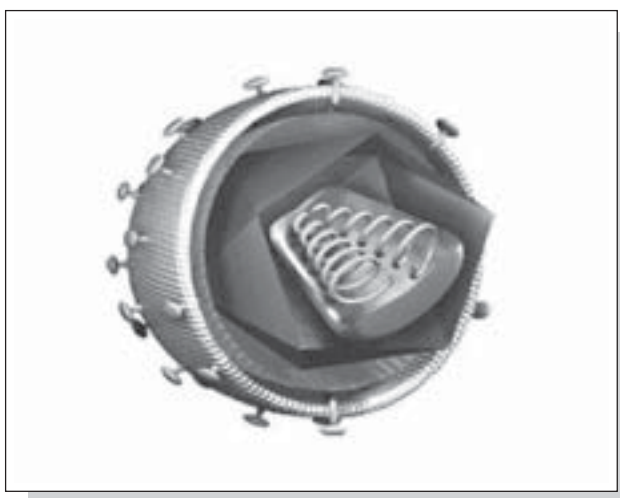
(Gene therapy for thalassemia: an update)

Dr Michael Antoniou Nuclear Biology Group, Department of Medical and Molecular Genetics

King College London School of Medicine, Guy's Hospital, London

นพ.กิตติ ต่อดจรัส ผู้สรุปจาก TIF MAGAZIN, May 2007.Issue No.5:51-3.

การรักษาโดยการเปลี่ยนยีน (Gene therapy) เป็นการรักษาธาลัสซีเมียที่หายขาดโดยการนำยีนของคนปกติไปเจริญเติบโตในไขกระดูกของผู้ป่วยโดยใช้ไวรัสเป็นตัวนำเข้าไปสู่ร่างกาย (vector) ไวรัสที่กล่าวคือ เส้นติไวรัส (lentivirus)



Dr. Michael Antoniou ได้สรุปจากการประชุมประจำปีของ The European Society for Gene and Cell Therapy ที่กรุงเอเธน ประเทศกรีซ เมื่อวันที่ 9-12 พฤศจิกายน 2549 วิทยากรที่ร่วมสัมมนาประกอบด้วย

1. ศาสตราจารย์ Michel Sadelain จาก Memorial Sloan Kettering Cancer Center, New York, USA
2. ศาสตราจารย์ Puman Malik จาก Children Hospital Los Angeles, California, USA
3. ศาสตราจารย์ Philippe Leboulch จาก Genetix Pharmaceuticals, Cambridge, Massachusetts, USA
4. ศาสตราจารย์ Giuliana Ferrari จาก Telethon Institute for Gene Therapy, Milan, Italy
5. ศาสตราจารย์ George Stomatoyannopoulos จาก University of Washington, Seattle, USA

ศาสตราจารย์ Giuliana Ferrari ได้ศึกษาในสัตว์ทดลองโดยการเปลี่ยนยีนในหนูที่เป็นธาลัสซีเมียได้สำเร็จ

การรักษาด้วยวิธีนี้ในผู้ป่วยเริ่มศึกษาในมนุษย์ (clinical trial) เมื่อ

1 ปีที่แล้วโดยทำในผู้ป่วยเบต้าธาลัสซีเมีย 5 คนและผู้ป่วย sickle cell anemia 5 คน อายุระหว่าง 5-35 ปี กรรมวิธีการรักษาประกอบด้วย

1. นำไขกระดูกของผู้ป่วยซึ่งมีเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดมาดำเนินการกรรมวิธีตัดต่อโกลบินยีนปกติ (genetically modified) เข้าไปในเส้นติไวรัส (globin lentivirus gene delivery vector) โดยใช้กระบวนการพันธุวิศวกรรม (genetic engineering)

2. นำไขกระดูกที่นำออกมา (harvested bone marrow) อีกส่วนหนึ่งเก็บสำรองไว้ สำหรับกรณีที่การรักษาโดยการเปลี่ยนยีนประสบความสำเร็จ ความล้มเหลว หรือมีข้อแทรกซ้อนเกิดขึ้นจะนำไขกระดูกส่วนนี้ใส่กลับเข้าไปในตัวผู้ป่วยใหม่

3. ผู้ป่วยจะได้รับเคมีบำบัดด้วยยา Busulfex (chemotherapy-conditioning programme) เพื่อทำลายไขกระดูกที่มีเซลล์ต้นกำเนิดของธาลัสซีเมีย กรรมวิธีนี้คล้ายกับการปลูกถ่ายไขกระดูก

4. ไขกระดูกที่ได้รับการตัดต่อโกลบินยีนปกติ (genetically corrected stem cell) ในห้องปฏิบัติการเรียบร้อยแล้วจะถูกนำกลับเข้าสู่ผู้ป่วย

ศาสตราจารย์ Philippe Leboulch รายงานในที่ประชุมว่าได้เริ่มทดลองรักษา (clinical trial) ในผู้ป่วยธาลัสซีเมีย 2 คนในเดือน พฤษภาคม และ กันยายน 2549 ผลการรักษาของผู้ป่วยรายแรกมีภาวะแทรกซ้อนในวันที่ 27 หลังการรักษาแพทย์จึงต้องนำไขกระดูกที่เก็บสำรองไว้ใส่เข้าไปใหม่อาการผู้ป่วยจึงดีขึ้น ส่วนผู้ป่วยรายที่ 2 ในเบื้องต้นยังไม่พบว่าจะได้ผลหรือไม่เนื่องจากเพิ่งเริ่มต้นรักษา

Dr Michael Antoniou ให้ความเห็นว่าปัจจุบันการรักษาด้วยการเปลี่ยนยีนโดยใช้เส้นติไวรัส (lentivirus gene delivery vector system) ยังไม่ใช่วิธีการรักษาที่ดีที่สุดเนื่องจากยังมีข้อจำกัดบางอย่างที่ยังไม่หาคำตอบได้แก่ การรักษาที่ยังมีประสิทธิภาพไม่เพียงพอต้องพัฒนาต่อไปอีก ความปลอดภัยในผู้ป่วยยังมีน้อยและยังไม่มีความหายขาด (life long cure)

ข้อเสนอนี้คือโรคธาลัสซีเมียไม่ใช่โรคที่รุนแรงถึงชีวิต (fatal conditions) สามารถรักษาได้โดยการให้เลือดและยาขับเหล็กชนิดฉีดหรือรับประทานโดยเฉพาะยาขับเหล็กชนิดรับประทานผู้ป่วยจะบริหารยาได้อย่างดีและถ้าโชคดีมีผู้บริจาคไขกระดูกที่เข้ากันได้กับผู้ป่วยๆ ก็มีโอกาสรักษาให้หายขาดจากโรคได้