



ความก้าวหน้าการศึกษา โครงการวิจัย GPO-L-ONE

ศาสตราจารย์เกียรติคุณ แพทย์หญิงวรวรรณ ตันไพจิตร วรวรรณ

มูลนิธิโรคโลหิตจางธาลัสซีเมียแห่งประเทศไทยได้ประชุมกับผู้วิจัยและองค์การเภสัชกรรมเพื่อหาเรื่องเกี่ยวกับ ความก้าวหน้า การศึกษาโครงการวิจัย GPO-L-ONE เมื่อวันที่พฤหัสบดีที่ 24 ธันวาคม 2552 ณ ห้องประชุมสถาบันวิจัยและพัฒนา องค์การเภสัชกรรม มีความคืบหน้าโครงการวิจัยGPO-L-ONE ดังนี้

ความคืบหน้าสถานะโครงการฯ ภาพรวมในปัจจุบันและ ปัญหาอุปสรรค

รายงานโดยคุณพรสิริ (ตัวแทนจากศูนย์วิจัยทางคลินิก คณะแพทยศาสตร์ศิริราชพยาบาล) ข้อมูล ณ วันที่ 15 ธันวาคม 2552 สรุปดังนี้

1. อาสาสมัครที่ร่วมวิจัย (enrollment) แบ่งเป็น ผู้ใหญ่ 74 ราย ผู้ป่วยเด็ก 73 ราย

2. สรุปหยุดยา discontinue 14 รายของแต่ละ site ดังนี้
รพ. ศิริราช (เด็ก) Discontinue 3 (Anemia , Neutopenia 2 ราย)

รพ.พระมงกุฎ (เด็ก) Discontinue 3 (Liver transaminitis)

รพ.รามาศิบัติ (เด็ก) Discontinue 3 (Liver transaminitis)

รพ.จุฬาฯ (เด็ก) Discontinue 1 (Liver transaminitis)

รพ.ศิริราช (ผู้ใหญ่) Discontinue 1 (Neuopenia)

รพ.นครปฐม Discontinue 3 (AIHA, Death : Acute renal failure, คนไข้ชดถอนตัวออกจากโครงการ)

รพ.พระมงกุฎเกล้า (ผู้ใหญ่) Discontinue 1 (ชดถอนตัวออกจากโครงการ)

3. จำนวนผู้เข้าร่วมโครงการฯ ตั้งแต่เริ่มต้นโครงการจนถึงขณะนี้รวมทั้งหมด = 213 ราย

4. จำนวนผู้เข้าร่วมโครงการฯ อยู่ระหว่างดำเนินการ=147 ราย อัตราของผู้ป่วยที่มีการเปลี่ยนแปลง Liver enzyme เกิน 3 เท่าของ baseline เดิมของผู้ป่วยจากข้อมูลในตาราง พบประมาณ 6 ราย จากผู้ป่วย 213 ราย

เสนอผลการวิเคราะห์ข้อมูลทางเวชปฏิบัติเบื้องต้น (ณ การศึกษา ที่ 6 เดือน)

รศ. ดร. นพ. วิปร วิประกษิต รายงานรูปแบบการวิจัย Single Arm Open Label , ขนาดยาที่ใช้ 50 - 75 mg/kg/d

1. ในผู้ป่วยผู้ใหญ่ จำนวนที่ศึกษาประมาณ 60 ราย พบว่า ณ การรักษาครบ 6 เดือน พบว่า มีการเปลี่ยนแปลงระดับ serum ferritin ลดลงประมาณ 900 ng/dl ณ การรักษาครบ 10 เดือน ลดลงประมาณ 1,600 ng/dl ครบ 1 ปี ลดลงประมาณ 1,000 ng/dl เพิ่มขึ้นมา อาจเนื่องจากตัวอย่างที่ครบปียังมีจำนวนน้อย

2. สรุปผู้ป่วยผู้ใหญ่ที่ได้รับเลือดไม่สม่ำเสมอได้รับยาขนาด 50mg/kg/dพบว่าระดับ Serum Ferritin ลดลงอย่างมีนัยสำคัญ

3. ในผู้ป่วยเด็ก พบว่า ค่าเฉลี่ยระดับ serum ferritin มีการเปลี่ยนแปลงน้อยเมื่อเทียบกับก่อนเริ่มการรักษา โดยหากพิจารณาเป็นรายพบว่าผู้ป่วยเด็กจำนวน 53 เปอร์เซ็นต์ ที่ 6 เดือน มีแนวโน้มระดับ ferritin ที่ลดลง (โดยมีการกำหนดเกณฑ์ใน protocol : serum ferritin ลดลงมากกว่า 15 เปอร์เซ็นต์ของค่าเริ่มต้น) โดยผู้ป่วยที่ระดับ serum ferritin ไม่ลดลงมีการปรับขนาดยาแล้ว ครึ่งละ 5-10 mg ทุก 3 เดือน ตามที่ protocol อนุญาต

4. การปรับปริมาณยาของผู้ป่วยเด็กที่มีการตอบสนองต่อยาน้อยกว่าเมื่อเทียบกับการปรับปริมาณยาของผู้ป่วยที่ไม่ตอบสนองต่อยา

5. T2* (Liver) ผู้ป่วยเด็ก, ผู้ป่วยผู้ใหญ่ เพิ่มขึ้นเกือบทุกราย แสดงว่าปริมาณเหล็กในตับลดลง

6. T2* (Cardiac) ผู้ป่วยเด็กเกือบทุกรายเพิ่มขึ้น, ผู้ป่วยผู้ใหญ่บางรายเพิ่มขึ้น บ่งว่าปริมาณเหล็ก ในหัวใจลดลง

7. พบอาการไม่พึงประสงค์ (adverse event) จากการทำงาน ของตับผิดปกติ (transaminitis) พบได้ 10 %

8. เทียบสัดส่วน CBC ขึ้นลงจาก baseline พบว่าภายใน 3 เดือนแรกมีผู้ป่วยประมาณ 50% ANC ลดลงจากจุดเริ่มต้น

เสนอข้อมูลการตรวจ MRI และ T 2* ของหัวใจและตับ

1. รายงานโดย ศ.พญ.จิรพร เหล่าธรรมทัศน์ จำนวนผู้ป่วยที่ตรวจครบ 3rd visit แล้ว : รพ. ศิริราช (เด็ก) 9 ราย จาก 18 ราย, รพ. ศิริราช (ผู้ใหญ่) 5 ราย จาก 10 ราย, รพ.จุฬาลงกรณ์ (เด็ก) 3 ราย จาก 4 ราย, รพ.รามาศิบัติครบ 8 ราย, รพ.พระมงกุฎ(เด็ก) เหลือ 2 ราย, รพ. พระมงกุฎ (ผู้ใหญ่) 2 ราย

2. ภาพรวม เริ่ม 75 ราย พบว่า ตรวจครบ 2nd visit 65 ราย, 3rd visit 37 ราย

3. จาก รพ.จุฬาฯ ที่ครบ 8 รายไม่พบปัญหา เหล็กสะสมที่ myocardial

4. มีผู้ป่วย 1 ราย จาก รพ. จุฬาฯ (เด็ก) และจาก 1 ราย รพ. พระมงกุฎ (เด็ก) มีค่า T2* (ตับ) ที่ลดลงมากให้ ศูนย์วิจัยฯ ขอข้อมูลจาก site เพิ่มเติมรายงานความคืบหน้าโครงการนำร่อง GPO-L-ONE มีผู้ลงทะเบียนที่เป็นผู้ป่วยเด็ก ราย 492 ผู้ป่วยผู้ใหญ่ 162 ราย ที่ประชุมเสนอขยายรับลงทะเบียนผู้ป่วยต่อไป อีก 2 เดือน จากเดิมสิ้นสุดเดือนสิ้นเดือนมกราคม 2553 เป็นสิ้นเดือนมีนาคม 2553 และกระตุ้นโรงพยาบาลที่มีผู้ป่วยมากๆ ให้เข้าร่วมต่อไป