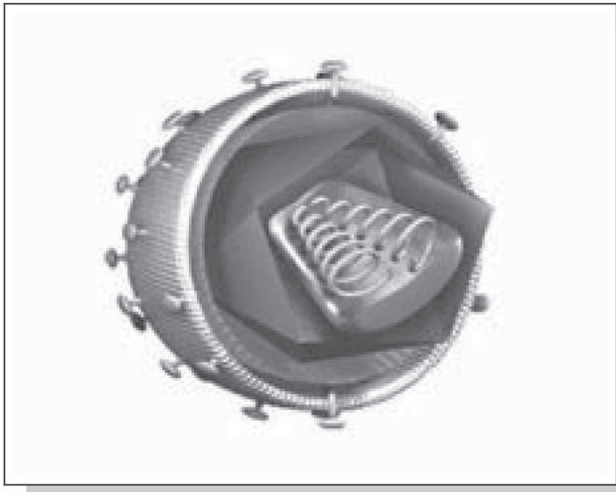


การเปลี่ยนยีนในธาลัสซีเมีย (Gene Therapy for Thalassaemia: an Update)

รศ. นพ. กิตติ ต่อจรัส

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



Dr. Michael Antoniou จาก Department of Medical and Molecular Genetics King College School of Medicine, Guy's Hospital, London ได้สรุปจากการประชุมประจำปีของ The European Society for Gene and Cell Therapy ที่กรุงเอเธน ประเทศกรีซ เมื่อ วันที่ 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 Stamatoyannopoulos 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. นำไขกระดูกของผู้ป่วยซึ่งมีเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดมาดำเนินการมอดิฟายด้วยไวรัส (genetically modified) เข้าไปในเล็นติไวรัส (globin lentivirus gene delivery vector) โดยใช้กระบวนการพันธุวิศวกรรม (genetic engineering)

2. นำไขกระดูกที่นำออกมา (harvested bone marrow) อีกส่วนหนึ่งเก็บสำรองไว้ สำหรับกรณีที่การรักษาโดยการเปลี่ยนยีนประสบความล้มเหลว หรือมีข้อแทรกซ้อนเกิดขึ้นจะนำไขกระดูกส่วนนี้ใส่กลับเข้าไปในตัวผู้ป่วยใหม่

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

4. ไขกระดูกที่ได้รับการดัดแปลงพันธุกรรม (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 ให้ความเห็นว่าปัจจุบันการรักษาด้วยการเปลี่ยนยีนโดยใช้เล็นติไวรัส (lentivirus gene delivery vector system) ยังไม่ใช่วิธีการรักษาที่ดีที่สุดเนื่องจากยังมีข้อจำกัดบางอย่างที่ยังไม่หาคำตอบได้แก่ การรักษาหนึ่งยังมีประสิทธิภาพไม่เพียงพอต่อพัฒนาต่อไปอีก ความปลอดภัยในผู้ป่วยยังมีน้อยและยังไม่มีผลว่าหายขาด (life long cure)

ข้อเสนอแนะคือโรคธาลัสซีเมียไม่ใช่โรคที่รุนแรงถึงชีวิต (fatal conditions) สามารถรักษาได้โดยการให้เลือดและยาขับเหล็กชนิดฉีดหรือรับประทานโดยเฉพาะยาขับเหล็กชนิดรับประทานผู้ป่วยจะบริหารยาได้อย่างดีและถ้าโชคดีมีผู้บริจาคไขกระดูกที่เข้ากันได้กับผู้ป่วยๆ ก็มีโอกาสรักษาให้หายขาดจากโรคได้

เอกสารอ้างอิง

1. TIF MAGAZIN, MAY 2007;5:51-3