



มหาวิทยาลัยมหิดล

ปัญญาของแผ่นดิน



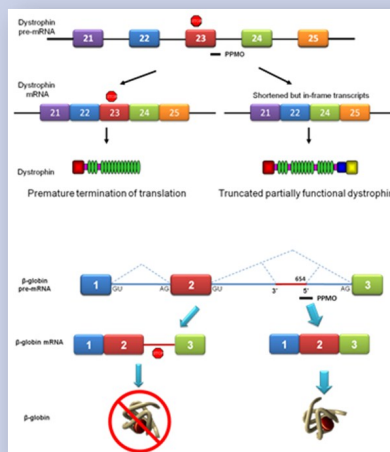
รางวัลวิทยานิพนธ์ระดับดีเด่น

วิทยานิพนธ์ เรื่อง “การรักษาโรคกล้ามเนื้อลีบดูเซน และเบต้าธาลัสซีเมีย โดยการเปลี่ยนแปลงการตัดต่อของยีน” ของ **ดร.นที เจียรวิริยะไพศาล** โดยมี ศาสตราจารย์ นพ.สุทัศน์ พุฒเจริญ เป็น อาจารย์ที่ปรึกษาหลัก ได้รับรางวัลวิทยานิพนธ์ระดับดีเด่น ประจำปี 2553 สาขาวิทยาศาสตร์การแพทย์จากสภาวิจัยแห่งชาติ

ดร.นที เจียรวิริยะไพศาล

งานวิจัยนี้มีการค้นพบนิวคลีโอไทด์ดัดแปลง (Peptide-conjugated Phosphorodiamidate Morpholino Oligomer; PPMO) ซึ่งสามารถนำไปประยุกต์ใช้กับโรคทางพันธุกรรมที่มีความบกพร่องของกระบวนการตัดต่อยีน (splicing) โดย PPMO จะชักนำให้เกิดการเปลี่ยนแปลงกระบวนการ splicing ที่ผิดปกติให้เป็นไปในรูปแบบที่ถูกต้อง หรือที่เป็นประโยชน์ต่อเซลล์ ซึ่งงานวิจัยนี้ได้แสดงให้เห็นว่า PPMO สามารถนำไปใช้ในการรักษาโรคกล้ามเนื้อลีบดูเซนและเบต้าธาลัสซีเมียได้อย่างมีประสิทธิภาพในหนูทดลองที่แสดงอาการทางคลินิก และยังเป็นต้นแบบการเปลี่ยนแปลงการตัดต่อของยีนที่สามารถนำไปประยุกต์ใช้ในโรคอื่นๆ ได้ เนื่องจากมากกว่าร้อยละ 50 ของโรคทางพันธุกรรมเกิดจากการกลายพันธุ์ที่เกี่ยวข้องกับกระบวนการ splicing

งานวิจัยนี้ค้นพบ PPMO ซึ่งเมื่อนำไปใช้ในการรักษาโรคกล้ามเนื้อลีบดูเซนในหนูทดลอง พบว่าหนูทดลองมีสมรรถภาพของกล้ามเนื้อทั่วร่างกายดีขึ้น อีกทั้งยังเป็นงานวิจัยชิ้นแรกๆ ที่แสดงให้เห็นว่าสามารถรักษาอาการผิดปกติของกล้ามเนื้อหัวใจในหนูที่เป็นโรคกล้ามเนื้อลีบดูเซนได้



งานวิจัยนี้ยังได้แสดงให้เห็นว่า PPMO สามารถใช้ในการรักษาโรคเบต้าธาลัสซีเมียชนิดที่มีการกลายพันธุ์ที่พบบ่อยในผู้ป่วยเบต้าธาลัสซีเมียในประเทศไทยได้ ซึ่งจากการทดลองในหนูทดลองที่เป็นโรคเบต้าธาลัสซีเมีย พบว่าเมื่อให้ PPMO ทางหลอดเลือดดำแล้ว หนูทดลองมีพยาธิสภาพของโรคลดลง

