

نام و نام خانوادگی: دکتر امیر علی حمیدیه	مقطع / رشته: دکترای فوق تخصصی بالینی / خون و سرطان کودکان
شماره تماس: ۰۹۱۲۱۵۹۳۲۷۰	ایمیل: aahamidieh@tums.ac.ir



عنوان طرح پژوهشی:

ارزیابی پیش بالینی سلول های بنیادی ویرایش شده ژن BCL11A با هدف ژن درمانی برای هموگلوبینوپاتی ها: بتا تالاسمی، بیماری سلول داسی شکل

محل اجرای طرح پژوهشی: پژوهشکده ژن، سلول و بافت/ مرکز تحقیقات سلول و ژن درمانی کودکان

رشته فارغ التحصیلی مورد نظر برای داوطلب دوره پسادکتری :

ژنتیک مولکولی

مهارت های مورد نظر برای داوطلب دوره پسادکتری:

ویرایش ژنوم (CRISPR/Cas9)- کار با حیوانات آزمایشگاهی- بافت شناسی

خلاصه ضرورت اجرای طرح پژوهشی:

هموگلوبینوپاتی ها از جمله بتا تالاسمی و بیماری داسی شکل از شایع ترین اختلالات ژنتیکی در ایران و کشورهای هم جوار محسوب می شوند. درمان های موجود مانند پیوند سلول های بنیادی و مصرف داروهایی نظیر هیدروکسی اوره با محدودیت ها و عوارض متعددی همراه هستند و پاسخ درمانی در بسیاری از بیماران رضایت بخش نیست. در سال های اخیر، فناوری ویرایش ژنوم به ویژه سیستم CRISPR-Cas به عنوان یک رویکرد تحول آفرین مطرح شده و نتایج موفقیت آمیز در کارآزمایی های بالینی و حتی بین المللی آن، اهمیت توسعه و بومی سازی این فناوری را دوچندان کرده است. تغییر مسیر درمانی به سوی استفاده از سلول های بنیادی و روش های ویرایش ژنی، پتانسیل قابل توجهی برای درمان بیماری های خونی و غیرخونی دارد. با این حال، پیش از انتقال به مراحل بالینی، لازم است ایمنی پیش بالینی، توزیع زیستی، پایداری توالی های ویرایشی و احتمال توموروژنیک یا اثرات ایمنی بررسی شوند. در این مطالعه سلول های بنیادی پس از ویرایش ژنتیکی مورد ارزیابی قرار می گیرند، این بررسی در راستای طرح قبلی با هدف ویرایش ژن BCL11A برای بیماری های هموگلوبینوپاتی ها بوده است. اهداف شامل بررسی سمیت اندامی، توزیع و ماندگاری سلول ها و پاسخ های ایمنی سیستمیک و موضعی است. نتایج مبنایی برای طراحی مطالعات اثربخشی و مراحل ترجمه ای بعدی در کارآزمایی بالینی خواهد بود.