Eksperymentalna terpia uratowała życie dziecku

11 listopada 2015

W Great Ormond Street Hospital (GOSH) wykorzystano nowatorską metodę edycji genów, dzięki której uratowano życie dziewczynki chorej na nieuleczalną dotychczas formę białaczki. Pacjentka, 12-miesięczna Layla, miała nawrót ostrej białaczki limfoblastycznej, która nie reagowała na leczenia. Dzięki „molekularnym nożyczkom" dziecko jest już zdrowe.

Chemioterapia jest skuteczna u wielu pacjentów z białaczką, jednak zdarzają się przypadki, w których komórki nowotworowe ukryją się i są odporne na działanie leków. Od pewnego czasu pobiera się od takich pacjentów limfocyty T i poddaje się je manipulacjom genetycznym, dzięki którym są one w stanie rozpoznać i zabić komórki nowotworowe. Problem jednak w tym, że u pacjentów z agresywną odmianą choroby lub u tych, którzy przeszli wielokrotną chemioterapię nie ma już odpowiedniej liczby zdrowych limfocytów T.

Na Laylę nie działała chemioterapia i jedyną opcją pozostawała terapia paliatywna. Lekarze zdecydowali się więc zastosować pobrane od dawców komórki UCART19. Za pomocą molekularnych nożyczek wycięto odpowiednie geny i dodano je do wspomnianych komórek. Geny te spowodowały, że z jednej strony komórki te stały się niewidoczne dla leków przeciwnowotworowych, które w normalnych warunkach by je zabiły, z drugiej zaś – zmienione komórki rozpoznawały i zabijały wyłącznie komórki nowotworu. Technika taka została opracowana przez uczonych z GOSH, University College London oraz firmę biotechnologiczną Cellectis. Została już zatwierdzona do testów klinicznych, które miały się wkrótce rozpocząć. Gdy okazało się, że pomocy potrzebuje niemowlę, zespół naukowy postarał się o specjalne pozwolenie na wykorzystanie swojej techniki. „Nasza technika dawała świetne rezultaty w testach laboratoryjnych. Gdy

usłyszałem o dziecku, któremu nie pozostała już żadna nadzieja, pomyślałem „dlaczego by nie użyć tej terapii”. To było eksperymentalne leczenie i potrzebowaliśmy specjalnego pozwolenia, ale wydawało się, że dziecko idealnie się nadaje” – mówi profesor Waseem Qasim.

Rodzice Layli również wyrazili zgodę na leczenie, chociaż zdawali sobie sprawę z tego, że wspomniana technika nigdy nie była testowana na ludziach.

W ramach leczenia dziecku przez 10 minut podano dożylnie 1 ml komórek UCART19. Kolejne kilka miesięcy dziewczynka spędziła w izolatce. Pierwsze oznaki poprawy pojawiły się po kilku tygodniach. „Jako, że było to pierwsze zastosowanie naszej techniki, nie wiedzieliśmy czy i kiedy pojawi się poprawa. Byliśmy szczęśliwi, że się udało. Ona miała tak agresywną formę białaczki, że to niemal cud, iż wyzdrowiała” – mówi profesor Paul Veys.

Gdy lekarze upewnili się, że w organizmie dziewczynki nie ma już komórek nowotworowych, dziecku przeszczepiono szpik kostny, by organizm mógł odtworzyć zniszczony terapią układ odpornościowy. Obecnie Layla mieszka z rodzicami w domu. Musi jednak regularnie pojawiać się w GOSH, gdzie badany jest jej szpik oraz krew.

Profesora Qasim zastrzega: „Użyliśmy tej metody na jednej bardzo silnej małej dziewczynce. Nie możemy stwierdzić, że jest to metoda odpowiednia dla wszystkich dzieci. Jednak to bardzo znaczące osiągnięcie na polu nowych technik inżynierii genetycznej i w przypadku tego dziecka wyniki są niesamowite. Jeśli uda się je powtórzyć, możemy być świadkami wielkiego kroku w kierunku leczenia białaczki i innych nowotworów.”

Layla urodziła się w czerwcu 2014 roku. Gdy miała 14 tygodni zdiagnozowano u niej ostrą białaczkę limfoblastyczną. Dziewczynka trafiła na oddział intensywnej terapii, gdyż lekarze stwierdzili, że choroba ma niezwykle agresywny

przebieg. Już następnego dnia rozpoczęto u niej chemioterapię, później poddano ją przeszczepowi szpiku. Siedem tygodni po przeszczepie rodzina Layli dowiedziała się, że nastąpił nawrót choroby. Jako, że nowotworu nie zabiły silne chemioterapeutyki podawane za pierwszym razem, dalsza chemioterapia nie wchodziła w rachubę. Dziewczynka trafiła do Sheffield na eksperymentalne leczenie, które jednak nie dało żadnych rezultatów. Dzień przed pierwszymi urodzinami rodzina Layli dowiedziała się, że dla dziewczynki nie ma ratunku i pozostała jedyna opieka paliatywna. Rodzice nie zaakceptowali tego i poprosili lekarzy, by próbowali wszystkiego co możliwe. Rodziców poinformowano o eksperymentalnym leczeniu, które dawało dobre wyniki w przypadku myszy, nie było jednak testowane na ludziach. Gdy zgodzili się na użycie tej terapii na ich córce, zebrał się specjalny komitet etyczny, który musiał zatwierdzić leczenie.

Lekarze spodziewali się, że tydzień lub dwa po podaniu komórek u Layli wystąpi odpowiedź układu odpornościowego – zwykle ma to miejsce w postaci wysypki. Byłby to znak, że organizm reaguje. Jednak u Layli żadne takie oznaki się nie pojawiły. Nie było wiadomo, czy terapia w ogóle działa. Dziewczynkę już miano wypisać do domu, gdy zauważono wysypkę. Z czasem wysypka była coraz silniejsza, ale wydawało się, że Layla czuje się dobrze. Lekarze byli przygotowani, że w każdej chwili dziecko trzeba będzie przenieść na OIOM. Kilka tygodni później badania wykazały, że w organizmie dziecka nie ma już komórek nowotworowych. Dwa miesiące później Layli po raz kolejny przeszczepiono szpik. Jej stan na tyle się poprawił, że miesiąc po przeszczepie dziecko wypisano do domu.

Autorstwo: Mariusz Błoński
Na podstawie: gosh.nhs.uk
Źródło: KopalniaWiedzy.pl