

Gdzie przepadł kanadyjski lek za milion dolarów?

19 listopada 2018

Glybera to jedno z największych osiągnięć kanadyjskiej nauki. To pierwszy zatwierdzony lek, który może naprawić uszkodzony gen. Co więcej, wystarczy jedna dawka. To także lek, o którym praktycznie nikt nie słyszał.

Zespół naukowców z University of British Columbia przez kilkadziesiąt lat szukał sposobu leczenia osób, które urodziły się z mutacją wywołującą niedobór lipazy lipoproteinowej (LPLD – lipoprotein lipase disorder). Jest to przypadłość genetyczna, występująca szczególnie często w regionie Saguenay w północno-wschodnim Quebecu. Żaden inny region na świecie nie odnotowuje takiego zagęszczenia przypadków jak Saguenay. Normalnie występują 1-2 przypadki na milion, a w Saguenay – 200.

Psycholog z Montrealu Cynthia Turcotte, 42 l., urodziła się z LPLD, ale została zdiagnozowana dopiero, gdy miała 8 miesięcy. Z powodu mutacji w ciele chorego nie ma białka, które odpowiada za metabolizm tłuszczów. Krew staje się gęsta i biała, a cząsteczki tłuszczów niszczą trzustkę. Turcotte przez całe życie musiała przestrzegać ścisłej diety beztłuszczowej. Do tego kobiety z LPLD nie powinny mieć dzieci, ponieważ występuje u nich wysokie ryzyko poronienia. Mimo przestrzegania wszystkich restrykcji około 10 lat temu rozwinęło się u niej ostre zapalenie trzustki. W tym czasie dowiedziała się, że w Chicoutimi, Que. trwają badania kliniczne eksperymentalnego leku na LPLD. Od razu się zgłosiła. Podczas jednej wizyty dostała serię 45 zastrzyków domięśniowo. Jest jedną z 31 osób, której Glybera odmieniła życie.

Poszukiwania leku na LPLD rozpoczęły się w połowie lat 80. od

identyfikacji uszkodzonego genu. Prowadzili je dr Michael Hayden z University of British Columbia i dr John Kastelein z Amsterdamu. Potem należało wymyślić, jak zastąpić go nowym i jak dostarczyć ten nowy w odpowiednie miejsce. Naukowcy użyli bezpiecznego wirusa stworzonego po to, by przenosić ludzki gen. Wirus wchodził do komórek i kopiował zdrowy gen, dzięki czemu ruszała produkcja brakującego białka. Pierwsze badanie na myszach zrobiono 10 stycznia 2002 roku. Następnymi pacjentami były koty z Nowej Zelandii, u których mutacja występowała naturalnie. Terapia genowa znów zadziałała. Lek był gotowy do badań klinicznych. Na tym etapie potrzebne były pieniądze.

Dr Kastelein wrócił do Holandii, założył firmę farmaceutyczną Amsterdam Molecular Therapeutics (AMT) i zaczął starać się o dopuszczenie do badań na ludziach. Uzyskał je w końcu w 2005 roku. Do próby przystąpiło ośmiu pacjentów. Każdy podczas jednej sesji otrzymał do 60 zastrzyków w mięśnie nóg. Niemal natychmiast poziom tłuszczów we krwi zaczął u nich spadać.

Po tym sukcesie historia Glybery wróciła do Kanady, do Chicoutimi. W tych badaniach wzięła udział Cynthia Turcotte. Był rok 2008.

AMT w Danii mogła zacząć produkować lek, ale firma wciąż walczyła z European Medicines Agency (EMA) o zatwierdzenie go do sprzedaży. LPLD to rzadka choroba, więc przebadana grupa pacjentów była mała. Agencja domagała się większej liczby danych. Kastelein i jego firma apelowali do polityków w komisji europejskiej. W końcu udało się uzyskać zatwierdzenie leku. Przez te 2,5 roku AMT, która nie produkowała żadnych innych leków, straciła miliony dolarów. Formalnie zbankrutowała, a jej majątek kupiła prywatna firma uniQure, która nawiązała współpracę z włoską Chiesi Farmaceutici. W końcu w 2015 roku Glybera trafiła do sprzedaży i kosztowała 1 milion dolarów amerykańskich za pojedynczą dawkę. Pierwsza na świecie terapia genowa była też najdroższa na świecie. Hayden i Kastelein byli w szoku. W Ameryce Północnej nigdy nie był

sprzedawany. Według Chiesi Farmaceutici cena została ustalona po porównaniu leku z innymi stosowanymi w rzadkich chorobach. Do tego dochodzi fakt, że Glybera to jednorazowa terapia, która wystarcza na co najmniej 10 lat (taka trwałość wynika z dotychczasowych badań), więc cena wydaje się uzasadniona, mówi szef uniQure. Tłumaczy, że wiele leków zastępczych, które muszą być podawane do końca życia pacjenta, potrafi kosztować ponad 300 000 dol. rocznie. Nie widzi powodu, dla którego należałoby obniżyć cenę.

W końcu w 2017 roku Chiesi Farmaceutici wycofało się. Europejska licencja produkcyjna wygasła, a prawa wróciły do uniQure. Na półce zostały trzy próbki. Trafiły do jednego pacjenta z Włoch i dwóch z Niemiec. Każdy z nich zapłacił po 1 euro.

Autorstwo: Katarzyna Nowosielska-Augustyniak

Źródło: [Goniec.net](http://goniec.net)