

Nowatorska metoda wyleczyła dzieci z białaczki?

27 stycznia 2017

Lekarze z Great Ormond Street Hospital informują o remisie białaczki u dwóch dzieci, u których po raz pierwszy w historii zastosowano genetycznie zmodyfikowane komórki odpornościowe dawcy. Eksperyment daje nadzieję na stworzenie łatwo dostępnej taniej terapii wykorzystującej komórki dawców. Może być też poważnym wyzwaniem dla takich firm jak Juno Therapeutics czy Novartis, które wydały dziesiątki milionów dolarów na terapię, które wymagają pobrania własnych komórek pacjenta i odpowiedniego ich zmodyfikowania.

Wspomniane dzieci, w wieku 11 i 16 miesięcy, cierpiały na białaczkę, której nie można było wyleczyć innymi metodami. Zdecydowano się więc na nowatorskie podejście, a prowadzący eksperyment doktor Waseem Qasim poinformował, że obecnie choroba jest w stanie remisji.

Pomimo obiecujących wyników i nagłośnienia sprawy w brytyjskich mediach, niektórzy specjaliści pozostają sceptyczni. Dzieci poddawano bowiem też standardowej chemioterapii, a lekarze z Londynu nie dowiedli, że pomogły limfocyty T dawców. „Jest w tym pewna nadzieja, ale nie mamy dowodu. Byłoby wspaniale, gdyby ta terapia działała, ale nie zostało to jeszcze udowodnione” – zauważa Stephen Grupp, dyrektor wydziału immunoterapii nowotworów w Szpitalu Dziecięcym w Filadelfii, który współpracuje z Novartisem.

Prawa do opracowanej w Londynie terapii zostały sprzedane firmie Cellectis, a prace nad dalszym rozwojem tej metody prowadzą Servier i Pfizer.

Terapie z wykorzystaniem limfocytów T, zwane CAR-T, to nowe technologie i nie są jeszcze komercyjnie dostępne. Dotychczas przynoszą one świetne wyniki w walce z nowotworami krwi. Na

przykład Novartis i Juno informują, że około połowy pacjentów zdrowieje po otrzymaniu własnych zmodyfikowanych limfocytów T. Jednak skomercjalizowanie takich terapii nie jest proste i wiąże się ze skomplikowanymi procedurami logistycznymi. Na przykład Novartis odpowiednio przystosowało do tego celu swoje centrum w New Jersey i obecnie przylatują do niego limfocyty T od pacjentów z 25 szpitali w 11 krajach, są tam szybko modyfikowane genetycznie i z powrotem wysyłane do szpitali leczących tych pacjentów. Novartis chce uzyskać w bieżącym roku zgodę władz USA na zastosowanie swojej terapii u dzieci.

CAR-T są na tyle obiecujące, że przyciągają inwestorów. Jednak wiele firm szuka innych rozwiązań niż Juno i Novartis. Regeneron, Kite Therapeutics, Fate Therapeutics czy Cell Medica pracują nad gotowymi rozwiązaniami, podobnymi do tych zastosowanych przez lekarzy w Londynie. Łatwiej, szybciej i taniej można by leczyć pacjentów, gdyby były dostępne gotowe zmodyfikowane limfocyty T dawców. Julianne Smith, wiceprezes odpowiedzialna w firmie Cellectis za rozwój CAR-T mówi, że szacowane koszty wytworzenia dawki zmodyfikowanych limfocytów T od dawcy to około 4000 USD. Koszty pobrania od pacjenta limfocytów T, przesłania ich do specjalistycznego centrum, zmodyfikowania i ponownego wysłania do szpitala leczącego pacjenta to około 50 000 USD.

Potencjalna konkurencja ze strony firm pracujących nad gotowymi lekami nie martwi Roberta Nelsena, inwestora i założyciela Juno Therapeutics. „To, co oni mogą zaoferować w przyszłości, my oferujemy już teraz. A nawet jeśli już będą mieli gotowe rozwiązania, to gwarantuję, że będziemy mieli przewagę, bo lepiej jest mieć własne komórki niż kogoś innego.”

O londyńskim eksperymencie warto wspomnieć także dlatego, że nigdy wcześniej nie podawano pacjentom tak mocno zmodyfikowanych komórek. Przeszły one bowiem po 4 zmiany genetyczne wykonane metodą TALEN. Dwie podstawowe zmiany, jakie przeszły, to pozbawienie limfocytów T zdolności do

atakowania komórek innego człowieka, a druga – nakierowanie ich ataku na komórki nowotworowe.

Autor: Mariusz Błoński

Na podstawie: Technology Review.com

Źródło: KopalniaWiedzy.pl