

Zbadają przypadki niezwykłych ozdrowień

22 kwietnia 2013

US National Cancer Institute (NCI – Narodowy Instytut Raka Stanów Zjednoczonych) zbiera historie, próbki tkanek i dane kliniczne osób, w przypadku których testy kliniczne zakończyły się sukcesem, mimo iż sam lek nie został dopuszczony do obrotu. Jedną z takich osób jest pacjentka Geralda Batista z kanadyjskiego McGill University. Kobieta cierpiała na nowotwór trzustki, który nie reagował na żadne metody leczenia. Batist dawał jej rok życia. Naukowiec zapisał swoją pacjentkę do testów klinicznych nowej klasy leków zwanych inhibitorami farnesyltransferazy. Wcześniejsze testy na zwierzętach sugerowały, że leki te radzą sobie z niektórymi z najbardziej śmiertelnych nowotworów. Koncerny farmaceutyczne rozpoczęły wyścig o to, kto pierwszy wprowadzi nowe leki na rynek.

Niestety, testy kliniczne inhibitorów nie dały oczekiwanych wyników. Dalsze badania przerwano. Jednak dla pacjentki Batista okazały się one wybawieniem. Kobieta wyzdrowiała i od 10 lat nie nastąpił u niej nawrót choroby.

Teraz NCI chce dokładnie przyjrzeć się temu i podobnym przypadkom by stwierdzić, dlaczego niektórzy pacjenci zdrowieją, pomimo iż testy kliniczne nie dają pożądanych wyników u większości badanych. Dotychczas zebrano około 200 podobnych przypadków ozdrowień. Wcześniej nawet nie próbowano robić tego typu badań. Jak wspomina Charles Sawyers, onkolog z Memorial Sloan-Kettering Cancer Center, gdy był na studiach o tego typu ozdrowieniach opowiadano w formie anegdot, a ich badań nie traktowano poważnie.

Jednak od tamtego czasu wiele się zmieniło. Nowoczesne techniki sekwencjonowania genomu guzów nowotworowych wykazały, że nie ma dwóch identycznych przypadków. Guzy różnią się od

siebie tysiącami mutacji, każdy jest więc wyjątkowy. W mutacjach tych ukryta jest olbrzymia ilość informacji, które mogą pozwolić na znalezienie np. odpowiedzi na pytanie, dlaczego dany pacjent nie poddaje się terapii. Dotychczas ignorowano prawdziwą kopalnię informacji – mówi James Doroshow, zastępca dyrektora NCI ds. badań klinicznych.

Z nowymi technikami wiąże się wielkie nadzieje. David Solit, badacz z Memorial Sloan-Kettering zetknął się z przypadkiem kobiety, u której w czasie testów klinicznych doszło do wyleczenia nowotworu pęcherza, mimo iż badany środek nie działał u większości pacjentów i nie trafił na rynek. Solit zdecydował się na zsekwencjonowanie genomu guza pacjentki. Wśród 17 136 mutacji, które znalazł, były dwie powodujące, iż jej nowotwór był bardziej podatny na działanie testowanego środka. Dalsze badania wykazały, że jeden ze zmutowanych genów – TSC1 – występuje u 8% spośród 109 zbadanych pacjentów z nowotworzem pęcherza. To wystarczyłoby do ponownego rozpoczęcia badań klinicznych, tym razem tylko na pacjentach z odpowiednią mutacją. Równie interesujący był inny przypadek, z którym zetknął się Solit. Jego pacjentka świetnie reagowała na chemioterapię zawierającą środek niszczący DNA. Okazało się, że w genie RAD50 pacjentki występuje mutacja, dzięki której jej DNA potrafi efektywnie się naprawiać. „Ona miała idealny genom dla tego leku” – mówi Solit.

Część badaczy chce, by NCI stworzyło publicznie dostępną bazę danych takich niezwykłych przypadków wyleczeń. Jest to szczególnie ważne, gdyż recenzowane pisma niechętnie publikują artykuły oparte na pojedynczych przypadkach. Stworzenie takiej bazy, lub też pisma specjalizującego się w publikacji tekstów na temat indywidualnych przypadków, pomogłoby w rozpowszechnianiu potrzebnych informacji i ułatwiło specjalistom poszukiwanie odpowiednich zindywidualizowanych terapii.

Wspomniany na wstępie Gerald Batist mówi, że każdy onkolog zetknął się z jednym czy dwoma przypadkami niezwykłych

ozdrowień. „Czas przestać opowiadać o tym w formie anegdot i przyjrzeć się bliżej temu zjawisku” – stwierdził Kanadyjczyk.

Autor: Mariusz Błoński

Na podstawie: Nature

Źródło: [Kopalnia Wiedzy](#)