

## Génovou technikou proti rakovine krvi

*Schválená liečba rakoviny ako "veľká nová oblasť medicíny".*

Dobrá správa pre pacientov s rakovinou. V Amerike bola povolená už druhá génová terapia proti určitým formám rakoviny krvi. Je to nová trieda liečebných postupov, ktoré geneticky reštartujú imunitné bunky pacienta, aby zničili rakovinové bunky.

Liečba bola vyvinutá v Národnom onkologickom inštitúte, výskum financovala spoločnosť Kite, ktorá získala práva na komerčné využitie.

Génová liečba proti rakovine je na rýchlom vzostupe. Minulý týždeň povolil americký úrad pre potraviny a liečivá FDA produkt "Yescarta" od firmy **Kite Pharma** ako druhý typ CAR-T (Chimeric antigén receptor) - bunkovú liečbu - počas niekoľkých týždňov. Už v auguste 2017 sa dostal na trh produkt "Kymriah" od firmy **Novartis**. Obe liečby napádajú rakovinu krvi, ktoré fungujú princípom odhalenia B-buniek a patria k novým formám geneticky optimalizovaných imunoterapií. Liečba vyžaduje odber miliónov patientských T-buniek- typu bielych krviniek, ktoré sú dôležité pre imunitný systém - ich zmrazenie, geneticky upravené na zničenie rakovinových buniek. Proces preprogramuje T-bunky na napadnutie B-buniek, inak normálnych častí imunitného systému, ktoré sa zmenia na malígne. Takto upravené T-bunky, teraz ako bunky CAR-T, dostane pacient naspäť. Čas tzv.obratu je približne 17 dní.Yescarta je zameraná proti trom formám Non-Hodgkinovho lymfómu, Kymriah proti akútnej lymfoblastovej leukémii, pre pacientov, ktorí už podstúpili dva režimy chemoterapie bez remisie.

Rýchlo po sebe idúce povolenia podčiarkujú význam CAR-T bunkovej terapie. Tumor nie je napádaný priamo, ale nepriamo cez mobilizované imunitné bunky. K tomu sú T-bunky pacienta v laboratóriu génovo-technicky vybavené protilátkovým proteínom. Takto upravené bunky po vrátení do krvného obehu napádajú rakovinové bunky.

Po zásahu sú T-bunky včítane rakovinových buniek vo veľkom počte zničené avšak telo je zaplavené zvyškami buniek, ktoré sa môžu prejaviť ťažkými vedľajšími účinkami. Vedľajšie účinky môžu byť život ohrozujúce. V štúdiu, ktorá viedla ku schváleniu, dvaja pacienti zomreli na vedľajšie účinky. V USA má preto povolenie použiť liečbu Yescartou od firmy Kite Pharma len málo centier. Tieto centrá musia dokázať, že vedia zvládnuť nežiaduce účinky.

V povoloovacej štúdiu "Yescarta" bola rakovina krvi u 54% pacientov úplne potlačená. Aj deväť mesiacov neskôr bolo ešte liečených 39% pacientov bez rakovinových buniek. Celkovo bolo 101 pacientov liečených na 22 klinikách. Ťažké vedľajšie účinky sa prejavili najviac v prvých dvoch týždňoch.

Jednorazová liečba nebude lacná. Yescarta má stáť 373.000 USD, čo je menej ako Kymriah s cenou 475.000 USD. Analytici očakávajú, že predaj týchto terapií bude v hodnote 1,7 miliardy USD do roku 2022 pre približne 3500 pacientov ročne. Vyberaní sú pacienti, ktorí už nemajú iné možnosti. Pacientom, ktorí nebudú správne reagovať na liečbu, sa nebude liečba účtovať.

Firma Kite Pharma nie je jediná, ktorá pracuje s CAR-T liečbou. Táto biotechnológia je na začiatku veľkej novej oblasti medicíny. Predpokladá sa, že v blízkej budúcnosti bude možné predpísať bunkovú liečbu a použiť ju v ten istý deň namiesto viactýždňového čakania.

Spoločnosti Kite a Novartis dúfajú, že budú vyvíjať bunkové terapie aj proti rakovine pľúc, hrubého čreva, prostaty a prsníka, ktoré predstavujú až 90% všetkých úmrtí na rakovinu.

*Podľa The New York Times 18.10.2017*

Pre SMYS M.Petrovič 27.10.2017