Nowe terapie dla najmłodszych pacjentów

Od lat możemy obserwować dyskusję na temat możliwości prowadzenia badań klinicznych w populacji dzieci i młodzieży. Środowisko pediatrów wciąż alarmuje opinię publiczną doniesieniami o ograniczonym dostępie do leków dla dzieci i młodzieży. Bez rzetelnych badań klinicznych nie można mówić bowiem o bezpiecznej i celowanej terapii. Obecnie blisko połowa stosowanych w medycynie leków nie ma rejestracji dla grupy pediatrycznej.

Agencja Badań Medycznych od początku działania wspiera badania kliniczne dedykowane najmłodszym pacjentom. Wiele z dofinansowanych projektów to opcje terapeutyczne, które mogą dać szansę na lepszą opiekę, a nawet szansę na pełne wyzdrowienie. Inwestycja w poszukiwanie alternatywnych metod leczenia jest niezwykle istotna zwłaszcza w przypadku populacji pediatrycznej, ze względu na fakt, że stosowanie nowych leków bez pełnej znajomości ich wpływu na organizm dziecka zwiększa zagrożenie wystąpienia działań niepożądanych w trakcie terapii.

Dzięki finansowaniu Agencji Badań Medycznych udało się obecnie uruchomić kilkanaście projektów dedykowanych dzieciom i młodym dorosłym, które mają na celu zmienić krajowy rynek badań w populacji pediatrycznej. Przedstawiamy wybrane projekty dedykowane najmłodszym pacjentom, w ramach których trwa rekrutacja pacjentów.

Nowe możliwości leczenia wzw C u dzieci

Dzieci najczęściej zakażają się wirusem zapalenia wątroby typu C od chorych matek. Przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu C (wzw C) jest postępującą chorobą wątroby prowadzącą do marskości i raka wątrobowokomórkowego. U dzieci jest ono zwykle opisywane jako choroba łagodna, ale ostatnie obserwacje wskazują, że odsetek dzieci, u których rozwija się zaawansowane włóknienie, w tym marskość wątroby, przed osiągnięciem dorosłości sięga kilkunastu procent.

Obecnie najlepszą opcją terapeutyczną w przewlekłym wzw C u dzieci, pozwalającą na całkowite wyeliminowanie wirusa z organizmu są terapie bezinterferonowe oparte na stosowaniu leków o bezpośrednim działaniu przeciwwirusowym (DAA). Terapie te charakteryzują się skutecznością powyżej 95%, a także łatwością podania, krótkim czasem trwania terapii i wysokim wskaźnikiem bezpieczeństwa w porównaniu do dotychczas dostępnych dla dzieci terapii. – podkreśla opiekun merytoryczny projektu dedykowanego leczeniu pacjentów pediatrycznych z przewlekłym wzw typu C - dr hab. Maria Pokorska-Śpiewak z Wojewódzkiego Szpitala Zakaźnego w Warszawie, z Kliniki Chorób Zakaźnych Wieku Dziecięcego na Warszawskim Uniwersytecie Medycznym.

W Europie spośród około dziesięciu kombinacji leków zarejestrowanych u osób dorosłych, jedynie pojedyncze mogą być stosowane u dzieci. Ponadto, dotychczas najmłodsi w Polsce mieli ograniczony dostęp do nowoczesnych terapii opartych o stosowanie leków mających bezpośrednie działanie przeciwwirusowe z powodu braku ich refundacji u pacjentów pediatrycznych. Niestety wysoka cena leków sięgająca kilkudziesięciu tysięcy złotych za miesięczną terapię wyklucza samodzielny zakup

preparatów przez tę grupę pacjentów. Niekomercyjne badanie kliniczne prowadzone przez Warszawski Uniwersytet Medyczny we współpracy z Wojewódzkim Szpitalem Zakaźnym w Warszawie oraz Uniwersytetem Florenckim, dzięki finansowaniu Agencji Badań Medycznych daje realną szansę na wdrożenie terapii u dzieci zakażonych wszystkimi genotypami wirusa, niezależnie od stopnia włóknienia wątroby.

Kontakt dla pacjentów zainteresowanych badaniem: dr hab. n. med. Maria Pokorska-Śpiewak, mail: maria.pokorska-spiewak@wum.edu.pl, tel.: 22 335 52 50

Dzieci z białaczką limfoblastyczną z szansą na wyleczenie

Rocznie w Polsce na nowotwory choruje ponad 1100 dzieci. Ostra białaczka limfoblastyczna (ALL) jest najczęstszym nowotworem złośliwym występującym w tej grupie. Dzięki finansowaniu Agencji Badań Medycznych, Uniwersytet Medyczny w Łodzi rozpoczął projekt badawczy CALL-POL, który obejmie wszystkie dzieci w Polsce ze świeżo rozpoznaną ALL.

Głównym celem projektu CALL-POL jest ułatwienie dostępu do najnowszych terapii dla polskich dzieci chorujących na ostre białaczki. Zaproponowane terapie będą dostępne dla wszystkich dzieci w Polsce. Identyfikacja opcji leczniczych odbędzie się przy użyciu zaawansowanej i ultranowoczesnych narzędzi diagnostyki molekularnej.

Finansowanie z Agencji Badań Medycznych pozwoli na zastosowanie nowoczesnych leków, których działanie jest molekularnie ukierunkowane i dopasowane do każdego pacjenta w sposób indywidualny. Będzie to prawdopodobnie najnowocześniejsza metoda leczenia białaczek na świecie. Takie podejście lecznicze ma na celu zwiększenie wyleczalności białaczki u dzieci do około 95%.

Zaproponowane w ramach projektu CALL-POL metody leczenia białaczki u dzieci umiejscawiają Polską onkohematologię dziecięcą w wśród najlepszych na świecie, a co najważniejsze korzystać z nowoczesnej terapii finansowanej przez Agencje Badań Medycznych będą wszystkie dzieci z rozpoznaną ostrą białaczką limfoblastyczną w kraju – podkreśla Prof. Wojciech Młynarski – lider projektu CALL-POL.

Grupę badaną będą stanowić dzieci z rozpoznaną ALL pochodzące ze wszystkich ośrodków onkologii pediatrycznej w Polsce. Zgodnie z wskaźnikami zachorowalności planowane jest włączenie do badania ok. 550-600 dzieci, a średni czas obserwacji to około 46 miesięcy. Harmonizacja procedur diagnostycznych obejmie scentralizowaną analizę molekularną i genetyczną komórek białaczkowych, co pozwoli na dostosowanie metod leczniczych indywidualnie dla każdego pacjenta. Dodatkowo, modyfikacja terapii będzie oparta o badanie odpowiedzi na zastosowane leczenie, co będzie prowadzone na pomocą identyfikacji nawet pojedynczych komórek białaczki w szpiku kostnym.

Uniwersytet Medyczny w Łodzi tworzy konsorcjum ze Śląskim Uniwersytetem Medycznym, Uniwersytetem Medycznym w Lublinie oraz Instytutem Innowacyjnych Technologii w Katowicach, które wspólnie prowadzić będzie ogólnokrajowe kontrolowane badania kliniczne, obejmujące leczenie dzieci w Polsce z białaczką. W tym celu partnerami klinicznymi w projekcie są wszystkie polskie ośrodki onkologii pediatrycznej. Konsorcjum CALL-POL zostanie połączone z siecią AIEOP-BFM, która jest największą na świecie międzynarodową siecią badań klinicznych w zakresie białaczek i chłoniaków u

dzieci.

Kontakt dla pacjentów zainteresowanych badaniem: Prof. Wojciech Młynarski, Uniwersytet Medyczny w Łodzi, e-mail: wojciech.mlynarski@umed.lodz.pl tel. 660732794

Nowy sposób leczenia stwardnienia guzowatego u najmłodszych pacjentów

Zespół lekarzy z Instytutu „Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka", dzięki finansowaniu Agencji Badań Medycznych zbada nowy sposób leczenia stwardnienia guzowatego u najmłodszych pacjentów, polegający na profilaktycznym zastosowaniu leku hamującego rozwój guzów, niemal zaraz po urodzeniu dziecka. Leczenie ma na celu zapobieganie rozwojowi guzów, ale także padaczki i związanych z nimi zaburzeń neuropsychiatrycznych, w tym niepełnosprawności intelektualnej i spektrum autyzmu.

Wprowadzanie nowych leków dla cierpiących na choroby rzadkie jest utrudnione nie tylko z powodu ograniczonej wiedzy na temat tych schorzeń, ale także ze względu na mniejsze zainteresowanie producentów leków. W konsekwencji pacjenci z rzadkimi schorzeniami, takimi jak stwardnienie guzowate, mają mniejsze szanse na skuteczne leczenie. Szansą dla nich są niekomercyjne badania kliniczne, czyli takie, w których to lekarze podejmują się badań nowych leków, bez udziału firm farmaceutycznych.

Obecnie, jedno na 6 tysięcy dzieci rodzi się ze stwardnieniem guzowatym. W wyniku mutacji dochodzi w wielu narządach do rozwoju guzów, najczęściej powoli rosnących i łagodnych, ale mogących powodować poważne konsekwencje. Guzy rozwijające się w mózgu prowadzą do padaczki, która zazwyczaj rozpoczyna się już u kilkumiesięcznego niemowlęcia i dotyczy niemal wszystkich chorych ze stwardnieniem guzowatym. Padaczka rozwijająca się w tak wczesnym okresie życia ma niekorzystny wpływ na dojrzewający mózg i wiąże się z wysokim ryzykiem rozwoju niepełnosprawności intelektualnej i zaburzeń autystycznych. Dodatkowym problemem jest częsta lekooporność pacjentów z padaczką tego typu.

Już podczas rutynowego badania ultrasonograficznego u płodu ze stwardnieniem guzowatym można dostrzec guzy w sercu. Umożliwia to wczesną diagnozę choroby i objęcie dziecka specjalistyczną opieką. Dzięki temu opracowano metodę leczenia przeciwpadaczkowego przed napadami u dzieci z tym schorzeniem, co znacząco zmniejszyło ciężkość padaczki i ryzyko niepełnosprawności intelektualnej. Leczenie takie nie ma jednak wpływu na rozwój guzów w stwardnieniu guzowatym. W kolejnych miesiącach i latach u chorych guzy rosną w nerkach, wątrobie, siatkówce oka, czy na skórze.

W realizowanym badaniu zastosowane będzie nie tylko innowacyjne leczenie, ale także wykonane zostaną badania zmierzające do lepszego poznania mechanizmów rozwoju padaczki i nowotworów. Będzie to możliwe między innymi dzięki zastosowaniu nowatorskich rozwiązań bioinformatycznych, co ma szczególne znaczenie właśnie w badaniach nad chorobami rzadkimi. Dzieci uczestniczące w badaniu będą leczone od pierwszego miesiąca życia do ukończenia drugiego roku życia, czyli do zakończenia okresu najbardziej dynamicznego rozwoju mózgu.

Badanie wykonywane będzie we współpracy z Warszawskim Uniwersytetem Medycznym, Uniwersytetem Medycznym w Łodzi, Uniwersytetem Harvarda w US oraz analitykami i informatykami

z firmy Transition Technologies.

Kontakt dla pacjentów zainteresowanych badaniem: Monika Szkop, mail: m.szkop@ipczd.pl, tel. do Sekretariatu Kliniki Neurologii i Epileptologii – 22-815-74-04.

Specjaliści z Uniwersytetu Medycznego w Łodzi pomogą dzieciom z AZS

Atopowe zapalenie skóry (AZS) jest ciężką chorobą zapalną, dotyczącą głównie populacji pediatrycznej. Jest to choroba charakteryzująca się zmianami zapalnymi na skórze, w najcięższych przypadkach obejmują one nawet 80-90% powierzchni, powodująca dodatkowo przesuszenie skóry oraz silny, uporczywy świąd.

Zmiany skórne są przyczyną wielu problemów pacjentów z AZS, między innymi ze względu na zaburzenia snu spowodowane świądem, niepokojem, zaburzeniami zachowania, stanami lękowowymi, a nawet stanami subdepresyjnymi. U części chorych rozwija się depresja, a nawet myśli samobójcze. Ponadto około 30-40% chorych na AZS ma współistnienie innych chorób z kręgu atopii, takich jak nietolerancje czy alergie pokarmowe, alergiczny nieżyt nosa lub astmę. AZS jest chorobą o bardzo złożonej i wciąż nie do końca poznanej patogenezie, biorą w jego rozwoju udział czynniki genetyczne, immunologiczne oraz środowiskowe.

Mimo wciąż prowadzonych badań nie ma obecnie satysfakcjonujących metod terapeutycznych szczególnie dla populacji pediatrycznej, których skuteczność i bezpieczeństwo potwierdzone byłyby badaniami klinicznymi. Istnieje obecnie jedyny zarejestrowany dla populacji lek – dupilumab – lek biologiczny, który EMA dopuściła do stosowania w Europie dla chorych z umiarkowaną i ciężką postacią AZS od 6 r.ż. W Polsce lek ten nie jest na razie objęty refundacją, ponadto nie zabezpiecza młodszych dzieci.

Nasz projekt zakłada przeprowadzenie po raz pierwszy na świecie badania klinicznego w grupie pacjentów pediatrycznych na AZS od 2 roku życia, mającego na celu określenie bezpieczeństwa i skuteczności terapii cyklosporyną i metotreksatem. Przeprowadzone szeroko badania i konsultacje przyczynią się do lepszego zrozumienia istoty choroby i umożliwią klinicystom prowadzenie bezpiecznej i skutecznej terapii w oparciu o uzyskanie obiektywnych wyników badania – podkreśla koordynator projektu prof. dr hab. n.med. Joanna Narbutt.

Kontakt dla pacjentów zainteresowanych badaniem: prof. dr hab. n.med. Joanna Narbutt email: joanna.narbutt@umed.lodz.pl

Poprzedni Strona
Następny Strona