Rekrutacje do badań klinicznych w populacji pediatrycznej

Dyskusję na temat możliwości prowadzenia badań klinicznych w populacji dzieci i młodzieży możemy obserwować od dawna. Środowisko pediatrów od lat alarmowało 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. Należy podkreślić, że 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 uruchomić kilkanaście projektów dedykowanych dzieciom i młodym dorosłym, które mają na celu zmienić krajowy rynek badań w populacji pediatrycznej. Dzień dziecka to dobra okazja do przedstawienia projektów dedykowanym najmłodszym pacjentom, w ramach których rozpoczynają się rekrutacje.

Centrum Wsparcia Pediatrycznych Badań Klinicznych

Centrum Wsparcia Pediatrycznych Badań Klinicznych zostanie utworzone na terenie Instytutu „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka" w Warszawie. Celem projektu jest utworzenie i rozwój Centrum, które ma doprowadzić do zwiększenia liczby badań klinicznych prowadzonych w populacji pediatrycznej w Polsce wraz ze zwiększeniem liczby ich uczestników. Centrum będzie nie tylko realizatorem badań klinicznych, ale także ich inicjatorem i kreatorem, odpowiadając potrzebom najmłodszych pacjentów i umożliwiając im zwiększenie dostępności do nowoczesnych terapii.

Działalność Centrum Wsparcia Pediatrycznych Badań Klinicznych umożliwi uzyskanie w trakcie przeprowadzonych badań klinicznych nowych danych oraz informacji, które będzie można wykorzystać do rozwoju wiedzy medycznej w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa farmakoterapii u dzieci. Rozwój badań klinicznych i innowacyjnych terapii będzie skutkować tworzeniem nowych standardów leczenia oraz wsparciem tej działalności o dostarczanie nowych, skuteczniejszych leków.

Rozpoczęcie rekrutacji uczestników badań klinicznych planowane jest już od lipca 2021 r.

Pierwsza próba profilaktyki padaczki i nowotworów

W ramach projektów sfinansowanych przez Agencję Badań Medycznych, zespół lekarzy z Instytutu

„Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka" bada nowy sposób leczenia stwardnienia guzowatego, polegającego na profilaktycznym zastosowaniu leku hamującego rozwój guzów, niemal zaraz po urodzeniu dziecka z tym schorzeniem. Stwardnienie guzowate to choroba,
w wyniku której w wielu narządach rozwijają się guzy, prowadzące do rozwoju padaczki. Wiąże się to z ryzkiem powikłań i rozwoju niepełnosprawności intelektualnej oraz zaburzeń autystycznych. Dodatkowym problemem jest związana z chorobą lekooporność.

W badaniu zastosowane będzie nie tylko nowatorskie leczenie, ale także wykonane zostaną badania zmierzające do lepszego poznania mechanizmów rozwoju padaczki i nowotworów. Będzie to możliwe między innymi dzięki zastosowaniu innowacyjnych rozwiązań bioinformatycznych, co ma szczególne znaczenie właśnie w badaniach nad chorobami rzadkimi. 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 Science Sp. z o.o.

Wyniki postępowania zostaną porównane z dotychczas stosowanym wczesnym leczeniem przeciwpadaczkowym. Założeniem nowej terapii jest możliwość zapobiegania padaczce poprzez zapobieganie rozwojowi guzów. Jeżeli okaże się, że postępowanie to jest skuteczne i bezpieczne, będzie można je wprowadzić jako standardowe leczenie zapobiegające przewlekłym, ciężkim i nieuleczalnym dotąd objawom choroby. Do badania włączone będą dzieci od pierwszego miesiąca życia do drugiego roku.

Trwa rekrutacja pacjentów. Włączanie nowych pacjentów jest planowane na najbliższe 3 lata.

Genetyczny zanik mięśni

Dystrofia mięśniowa Duchenne'a (DMD) jest chorobą genetyczną, która powoduje nieodwracalny zanik mięśni. Niemal wyłącznie dotyczy chłopców, a jej pierwsze objawy występują około 3-8 roku życia. Należą do nich m.in. opóźnienie rozwoju ruchowego i charakterystyczny chód. Około 10 roku życia słabnące mięśnie nie mogą już utrzymać ciężaru ciała i dzieci muszą poruszać się na wózkach. Z czasem przychodzą problemy z oddychaniem i choroba mięśnia sercowego, zwana kariomiopatią.

Poszukiwaniem skutecznego i bezpiecznego leczenia uzupełniającego tej grupy pacjentów zajmują się specjaliści z Katedry i Kliniki Kardiologii i Wad Wrodzonych Serca Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego. Naukowcy realizują badanie, w ramach którego pacjentom zostanie podany lek – metoprolol w celu zahamowania/spowolnienia procesu osłabiania mięśnia serca. W badaniu mogą wziąć udział pacjenci w wieku od 8 do 16 lat z potwierdzoną dystrofią mięśniową Duchenne'a.

Projekt realizowany jest na bazie infrastruktury Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego w Gdańsku, gdzie w ramach Centrum Chorób Rzadkich od ponad 5 lat realizowany jest największy w Polsce program opieki wielospecjalistycznej obejmujący dzieci z dystrofią mięśniową Duchenne'a. To dzięki niemu specjaliści szpitala zdobyli doświadczenie niezbędne do rozpoczęcia nowego wyzwania.

Specjaliści z Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego rozpoczynają nabór pacjentów do projektu. Z oferty mogą skorzystać chorzy z całej Polski.

Nowotwory wieku dziecięcego

Wśród chorób nowotworowych wieku dziecięcego rozpoznanie rozlanego naciekającego glejaka mostu w oparciu o wyniki badań genetycznych (DIPG) jest jednym z najgorzej rokujących guzów o niezaspokojonych potrzebach medycznych. Dotychczas stosowane leczenie nie przyczynia się do wyleczenia choroby, a jedynie przedłuża życie pacjentów. Średnia przeżycia dzieci z tym rozpoznaniem wynosi ok. 9 – 12 miesięcy.

Obecne badania kliniczne w DIPG skupiają się na ocenie bezpieczeństwa i skuteczności nowych produktów leczniczych, głównie leków biologicznych, w ramach terapii spersonalizowanej, dostosowanej do profilu molekularnego nowotworu u konkretnego pacjenta. W zaplanowanym badaniu klinicznym zakłada się, że zastosowanie syrolimusu w monoterapii lub w połączeniu z trametynibem u wybranych pacjentów będzie bezpieczne i wpłynie na poprawę całkowitego przeżycia w porównaniu do grupy historycznej dzieci z DIPG leczonych radioterapią. Przeprowadzone badania molekularne będą miały również na celu poznanie pełnego obrazu molekularnego choroby i pozwolą na identyfikację nowych celów terapeutycznych.

W trakcie trwania badania regularnie będą wykonywane badania RM w celu oceny skuteczności leczenia, badania laboratoryjne i konsultacje medyczne w celu zdiagnozowania ewentualnych powikłań terapii oraz badania oceniające jakość życia pacjentów. Badanie jest obecnie w fazie przygotowawczej.

Rekrutacja pierwszego pacjenta planowana jest na dzień 1 lipca 2021.

Poprzedni Strona
Następny Strona