

# Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/1547,Produkty-lecznicze-terapii-zaawansowane-j-szansa-dla-wspolczesnej-medycyny.html>  
17.07.2024, 13:24

## Produkty lecznicze terapii zaawansowanej szansą dla współczesnej medycyny

Produkty Lecznicze Terapii Zaawansowanej (advanced therapy medicinal product – ATMP) to produkty lecznicze stosowane u ludzi, oparte na komórkach, tkankach lub modyfikacjach genów. ATMP są bardzo szybko rozwijającą się gałęzią rynku badań klinicznych, która stanowi nadzieję dla wielu pacjentów, w tym również dotkniętych rzadkimi chorobami genetycznymi. Możliwość terapii genowej czy komórkowej dla wielu pacjentów może być jedyną opcją na wyleczenie lub złagodzenie skutków choroby.

Według wytycznych Europejskiej Agencji Leków (ang. European Medicines Agency – EMA) ATMP dzielimy na trzy główne typy:

- Produkty lecznicze terapii genowej (*Gene therapy medicinal products* - GTMPs) – leczenie poprzez umieszczanie w organizmie pacjenta zrekombinowanego (zmodyfikowanego) genu w celu leczenia szczególnie chorób genetycznych, nowotworowych i przewlekłych. Przykładem jest terapia CAR-T, w której lekiem są zmodyfikowane genetycznie białe krwinki leczonego pacjenta (limfocyty T) stosowane w leczeniu nowotworów krwi.
- Produkty lecznicze somatycznej terapii komórkowej (*Somatic Cell Therapy Medicinal Products* - sCTMP) – leczenie poprzez umieszczenie w organizmie pacjenta zmodyfikowanych komórek lub tkanek, które pod wpływem podania w inne niż fizjologiczne miejsce zmieniają swoje funkcje biologiczne. Przykładem mogą być komórki macierzyste pobrane z tkanki tłuszczowej pacjenta, poddanie znacznym modyfikacjom, a następnie leczenie w stanach zapalnych tkanek organizmu, np. w chorobie Leśniowskiego-Crohna (obecnie samo prowadzenie hodowli komórek jest uznawane za istotną manipulację ze względu na możliwą zmianę fenotypu (zespołu cech), funkcji biologicznych lub modyfikacji struktury).
- Produkty lecznicze inżynierii tkankowej (*ang. tissue engineered product* (TEP) – leczenie poprzez naprawę, regenerację lub wymianę ludzkich tkanek na komórki, które zostały uprzednio zmodyfikowane. Przykładem mogą być komórki tkanki chrzęstnej (chondrocyty) pobrane od pacjenta ze zdrowej chrząstki, które służą do leczenia defektów chrząstki w innym miejscu organizmu, np. kolanie.

Dodatkowo warto wspomnieć o kombinowanym ATMP, czyli komórkach lub tkankach stanowiących integralną i nieoderwalną część wraz z wyrobem medycznym. Przykładem są komórki wyhodowane na biodegradowalnej matrycy czy rusztowaniu (scaffold). Ten typ produktów może być niezwykle istotny w rozwoju przyszłej transplantologii, od lat trwają prace nad tworzeniem tkanek, które z powodzeniem można byłoby wykorzystywać w przeszczepach autogenicznych (autoprzyszczep, przeszczep z własnej tkanki lub narządu).

Produkty terapii zaawansowanej w Unii Europejskiej funkcjonują zgodnie z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego nr 1394/2007 z dnia 13 listopada 2007. Jako produkt medyczny mogą być podane pacjentowi w ramach zwolnienia szpitalnego (*ang. hospital exemption* – HE) czyli zastosowanie u ludzi w wyjątkowych przypadkach, gdy nie są skuteczne inne procedury medyczne. Po uzyskaniu zgody komisji bioetycznej oraz wyczerpaniu potwierdzonych opcji terapeutycznych pacjent ma możliwość otrzymania produktu terapii zaawansowanej wytworzonego zgodnie z zasadami dobrej praktyki laboratoryjnej (*ang. Good Manufacturing Practice* – GMP). W Polsce nadzór nad HE-ATMP pełni Główny Inspektor Farmaceutyczny, to do niego zgłaszane są wszelkie nieprawidłowości.

Zastosowanie ATMP daje ogromne możliwości terapeutyczne dla nieuleczalnych dotąd chorób i urazów. Obecnie jednym z ciekawszych przykładów badań klinicznych jest zastosowanie mezenchymalnych komórek macierzystych z galarety Whartona (populacji multipotencjalnych komórek macierzystych, zlokalizowanych w sznurze pępowinowym) w leczeniu cukrzycy typu 1 u dzieci i młodzieży. Badania kliniczne produktów terapii zaawansowanej są niezbędne do wykorzystania najnowszych możliwości medycyny w celu zapewnienia jak najwyższego standardu leczenia pacjentów.

#### Bibliografia:

- <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview>
- <https://www.pei.de/EN/medicinal-products/atmp/atmp-node.html;jsessionid=80E510B54576F0B474E62F4F08A86CD5.intranet221>
- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05061030?term=atmp&draw=2&rank=5>

Autor: Ewelina Szczygieł - młodszy specjalista ds. badań klinicznych w ABM