

Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosc/aktualne-wydarzenia-i-i/2188,Produkty-Lecznicze-Terapii-Zaawansowanej-ATMP.html>
05.05.2024, 21:03

Produkty Lecznicze Terapii Zaawansowanej (ATMP)

Produkty Lecznicze Terapii Zaawansowanej (ang. advanced therapy medicinal products, ATMP) to rodzaj terapii, która wykorzystuje komórki, tkanki lub geny pacjenta do leczenia chorób. ATMP to coraz popularniejsza forma terapii, która wkracza w erę medycyny spersonalizowanej, gdzie leczenie jest bardziej zindywidualizowane, a pacjenci otrzymują dopasowane do swoich potrzeb terapie.

W skład ATMP wchodzi trzy kategorie produktów: terapia genowa, terapia komórkowa i terapia tkankowa. Terapia genowa polega na wprowadzeniu do organizmu pacjenta zdrowego genu, który ma zastąpić lub naprawić uszkodzony lub brakujący gen. Terapia komórkowa wykorzystuje różne rodzaje komórek, takie jak komórki macierzyste lub komórki ukierunkowane, aby zastąpić uszkodzone komórki w organizmie pacjenta. Terapia tkankowa wykorzystuje tkanki lub narządy, aby naprawić lub zastąpić chorobowo zmienione struktury w ciele.

ATMP ma zastosowanie w leczeniu wielu chorób, w tym chorób genetycznych, nowotworów, chorób układu krążenia, a także chorób neurologicznych. Przykłady chorób, dla których stosuje się ATMP, to m.in. choroba Parkinsona, mukowiscydoza, choroba Fabry'ego, talasemia, niedobór odporności, a także różne rodzaje nowotworów.

Wprowadzenie ATMP na rynek wymaga przeprowadzenia wielu badań klinicznych, które pozwalają na ocenę skuteczności i bezpieczeństwa terapii. Zanim produkt może zostać dopuszczony do stosowania, musi uzyskać zgodę organu regulacyjnego. W Europie, organem regulacyjnym jest Europejska Agencja Leków (EMA), a w Stanach Zjednoczonych, agencją regulacyjną jest Food and Drug Administration (FDA).

ATMP stanowią obecnie jeden z najbardziej innowacyjnych i rozwijających się obszarów medycyny, który oferuje potencjalnie skuteczne i bezpieczne sposoby leczenia wielu chorób. Już teraz możemy zauważyć, że ATMP zmieniają oblicze medycyny, przynosząc nadzieję na skuteczne leczenie chorób, które dotychczas uważane były za nieuleczalne.

Kilka ciekawych faktów nt. ATMP:

- Pierwszym zatwierdzonym produktem ATMP na świecie jest terapia genowa Gendicine[®], która została zatwierdzona w Chinach w 2003 roku w leczeniu raka głowy i szyi.
- W 2017 roku w Stanach Zjednoczonych zatwierdzono pierwszą terapię komórkową o nazwie Kymriah[®], która została opracowana do leczenia białaczki limfoblastycznej u dzieci.
- Produkty ATMP są jednymi z najdroższych leków na świecie. Terapia genowa Hemgenix[®], w leczeniu hemofilii B ma niechlubne miano najdroższego leku świata a cena jednej dawki to 3,5

miliona dolarów.

- Wiele produktów ATMP jest w fazie badań klinicznych, co oznacza, że są one obiecujące, ale jeszcze nie są dostępne dla pacjentów. Wiele terapii jest w III fazie badań klinicznych, co oznacza, że są one już bliskie uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.
- ATMP mogą być wykorzystywane nie tylko do leczenia, ale także do regeneracji uszkodzonych tkanek i narządów, co otwiera możliwości leczenia wielu chorób, które dotychczas były uważane za nieuleczalne.
- Produkty ATMP stanowią nowe wyzwanie dla systemów opieki zdrowotnej, w tym dla ubezpieczeń zdrowotnych, które muszą znaleźć sposoby na finansowanie coraz skuteczniejszych ale i droższych terapii.

Bibliografia:

- Produkty Lecznicze Terapii Zaawansowanej, Uniwersytet Medyczny im. Piastów Śląskich we Wrocławiu, <http://atmp.umw.edu.pl/index.php/atmp> (dostęp: 17.04.2023 r.)
- Advanced therapy medicinal products: Overview, European Medicines Agency (EMA), <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview> (dostęp: 18.04.2023 r.)

Autor: Ewa Kowalczyk

(data opracowania artykułu 06.03.2023 r.)

[Poprzedni Strona](#)
[Następny Strona](#)