



Konferencja „Biotechnologia – nowe kierunki w medycynie XXI w.”

W połowie kwietnia 2009 r. w Warszawie, odbyła się konferencja naukowa pod patronatem Polskiej Federacji Biotechnologii poświęcona medycynie personalizowanej i biofarmaceutyce. Było to jedno z przedsięwzięć wspólnie zaplanowanych na ten rok przez Roche Polska i Roche Diagnostics Polska w celu przedstawienia nowego, łącznego podejścia do zagadnień diagnostycznych i terapeutycznych, niezbędnego w nowoczesnym systemie ochrony zdrowia.

W pierwszej sesji, prowadzonej przez prof. Tomasza Twardowskiego, prezesa Polskiej Federacji Biotechnologii i prof. Zbigniewa Gacionga, kierownika Katedry i Kliniki Chorób Wewnętrznych, Nadciśnienia Tętniczego i Angiologii WUM zaprezentowano interdyscyplinarne podejście do biotechnologii i medycyny personalizowanej. Bardziej praktyczne zastosowania zaawansowanych technologii, zwłaszcza w onkologii i leczeniu wirusowych zapaleń wątroby zaprezentowano w wykładach: prof. Andrzeja Mackiewicza, kierownika Zakładu Immunologii Nowotworów WCO w Poznaniu i prof. Waldemara Haloty, kierownika Katedry i Kliniki Chorób Zakaźnych AM w Bydgoszczy. Podczas tej sesji uczestnicy mieli również okazję zapoznać się z osiągnięciami prac działu badawczo-rozwojowego Roche.

Przedstawiciel firmy dr Stephan Jäger, kierownik Działu Chorób Metabolicznych przedstawił, jak wysoce złożonym i czasochłonnym przedsięwzięciem jest proces opracowywania nowych leków i poszukiwanie nowych biomarkerów.

W sesji drugiej, wykładowcy koncentrowali się na tematach bezpośrednio związanych z biofarmaceutykami, w aspekcie prac badawczych, ich opracowywania, produkcji i bezpieczeństwa

Adres do korespondencji

Agnieszka Brzezińska,
Roche Polska Sp. z o.o.,
ul. Domaniewska 39 B,
02-672 Warszawa

biotechnologia

3 (86) 207–208 2009

stosowania. Swoją prezentację o biofarmaceutykach, jako podstawowych narzędziach nowoczesnej farmakoterapii przedstawili prof. Roman Kaliszan, kierownik Katedry Biofarmacji i Framakodynamiki AM w Gdańsku, który podkreślił, że wprowadzenie współczesnych biofarmaceutyków wywołało prawdziwą rewolucję w leczeniu niektórych chorób, umożliwiając bardziej specyficzną, bezpieczną i skuteczniejszą terapię.

Zagadnieniom bezpieczeństwa biofarmaceutyków poświęcony był wykład prof. Andrzeja Więcka, kierownika Kliniki Nefrologii, Endokrynologii i Chorób Przemiany Materii AM w Katowicach. W tej części konferencji nie zabrakło również ciekawej prezentacji dra Thomasa Schreitmüllera z Działu Produkcji Biotechnologicznej Roche, który wprowadził słuchaczy w tajniki produkcji biofarmaceutyków w naszej firmie i przedstawił liczne wyzwania związane z tą skomplikowaną i wymagającą produkcją.

Konferencja zakończyła się dyskusją panelową, podczas której uczestnicy mogli zadawać dodatkowe pytania. W wydarzeniu tym wzięli udział przedstawiciele wielu dziedzin ochrony zdrowia, zarówno praktycy, jak i naukowcy, lekarze, diagności, dyrektorzy szpitali, przedstawiciele NFZ i innych organizacji rządowych. W ślad za тезami przedstawionymi przez wykładowców, wielu dyskutantów podkreślało, że w medycynie personalizowanej (PHC, ang. *Personalised Healthcare*) jesteśmy dopiero na początku wieloletniej drogi, ale też, że nie ma innej alternatywy dla nowoczesnego systemu ochrony zdrowia. Wyraźnie widoczne było również, że lekarze – otwarci na wszelkie nowe informacje o osiągnięciach PHC, oczekują z niecierpliwością praktycznych możliwości ich zastosowania w codziennej praktyce.

Konferencja odbiła się sporym echem w środowisku medycznym, jak również w mediach. W przyszłości planowane są podobne spotkania, które przyczynią się do poszerzenia wiedzy o medycynie personalizowanej i stosowaniu biologicznych terapii celowanych, nie tylko wśród profesjonalistów, lecz także wśród pacjentów i w całym społeczeństwie.

Agnieszka Brzezińska



Medycyna personalizowana – konferencja naukowa Roche

17 kwietnia 2009 r. odbyła się pierwsza w Polsce konferencja poświęcona „medycynie personalizowanej”. Ten nowy nie zawsze zrozumiały termin ma być unaocznieniem postępu nauk medycznych, w wyniku którego człowiek jako jednostka staje się celem postępowania terapeutycznego. W takim ujęciu odchodzi w przeszłość pojęcie standardów terapeutycznych, obejmujących wybrane populacje chorych. Naturalnie, aby tak pojęta medycyna stała się praktyką lekarską musimy umieć precyzyjnie indywidualizować pojedynczego człowieka w zakresie jego potrzeb leczniczych. W konsekwencji mamy dwa obszary zainteresowań, pacjenta z jego chorobą oraz zróżnicowany arsenał terapeutyczny.

Zdaniem prof. Tomasza Twardowskiego istotnym krokiem w tym kierunku jest opracowywanie leków dostosowanych do osobniczych genomów i potrzeb pacjenta, co obserwujemy już obecnie w terapii genowej czy lekach behawioralnych. Wskazał on, że medycyna personalizowana to wypadkowa postępu diagnostyki molekularnej oraz badań demograficznych i klinicznych. Głównymi kandydatami do tego typu terapii są obecnie onkologia i choroby zakaźne. Aby zmienić obowiązujący paradygmat niezbędna jest dobra znajomość patomechanizmu poszczególnych chorób, optymalizacja celów terapeutycznych, identyfikacja biomarkerów prognostycznych, a także identyfikacja poszczególnych chorych pod kątem sukcesu terapeutycznego i wyboru właściwych terapii.

Adres do korespondencji

Waldemar Halota,
Katedra Chorób
Zakaźnych i Hepatologii,
Centrum Medyczne,
Uniwersytet Mikołaja
Kopernika,
ul. Floriana 12,
85-838 Bydgoszcz;
e-mail: w.halota@wsoz.pl

biotechnologia

3 (86) 209–212 2009

Co więcej, powinniśmy również mieć możliwość przewidywania ryzyka rozwoju choroby oraz jej prawdopodobnego osobniczego przebiegu, umieć prognozować wyniki terapii w trakcie leczenia oraz wcześniej wykrywać jej toksyczność i ryzyko nawrotu choroby. Nie ma wątpliwości, że u podłoża takiego rozwoju medycyny leży sukces nauki zwanej biotechnologią oraz tego, co nazywamy medycyną opartą na faktach (ang. *Evidence-based medicine*), na co wskazał prof. Zbigniew Gaciong. Uważa on, że o ile XX w. był okresem poznania symptomatologii i diagnostyki chorób to XXI w. zostanie zdominowany przez genomikę, proteomikę i metabolomikę. Za znacznymi osiągnięciami w dziedzinie badań genetycznych i molekularnych „nie nadąża” skuteczność stosowanych leków, umiejętność zwalczania ich działań niepożądanych oraz trudności w prognozowaniu podatności na stosowaną terapię. Na jednym z przeźroczy prelegent pokazał jasne przesłanie konferencji „jeden rozmiar nie pasuje na wszystkich”. Czy fuzja terapii z diagnostyką stanie się źródłem „tera-diagnostyki” pokaże czas. Zdaniem prelegenta medycyna personalizowana może mieć również niekorzystne dla człowieka skutki. Zbyt dobrze poznany „osobnik” może stać się przedmiotem dyskryminacji, na przykład ze strony pracodawcy, stracić szansę do ochrony swej prywatności.

Zdaniem onkologa prof. Andrzeja Mackiewicza istotą postępu jest przejście od medycyny „prób i błędów” do „leczenia odpowiednim lekiem odpowiedniej osoby”. Wskazał on, że obecnie 20-75% chorych na nowotwory odpowiada na standardowe leczenie, a w USA ponad 100 000 osób rocznie umiera w wyniku toksyczności leków. Ilustruje to dystans jaki nas dzieli od ideału. Z punktu widzenia onkologa dopóki nie potrafimy uwzględnić różnorodności rasowej w kontekście środowiskowym i osobniczej heterogenności nowotworów pierwotnych i zmian przerzutowych, medycyna personalizowana jest odległym celem. Nie zmienia tego fakt, że pierwsze przeszkody zostały pokonane, a rak piersi to dobry przykład spersonalizowanej onkologii.

Zaproszony zostałem do udziału w konferencji jako wskaźnik i skoncentrowałem się na indywidualizowaniu terapii zakażeń wirusami hepatotropowymi. Mimo że AIDS mógł być lepszym przykładem dla „medycyny personalizowanej”, problemy hepatologiczne stanowią ważniejszy problem medyczny i społeczny. Nie ma wątpliwości, że znaczny postęp w indywidualizowaniu leczenia jest raczej tylko pierwszym krokiem w kierunku medycyny personalizowanej. *Tailoring* czy medycyna *a la carte* jest wynikiem powszechnego stosowania metod biologii molekularnej w praktyce klinicznej. Nie można obecnie leczyć pacjentów z wirusowymi zapaleniami wątroby bez określenia ładunku wirusa, kinetyki wirerii, oznaczenia genotypów HCV czy sekwencji genomów HBV dla oznaczenia lekooporności tego wirusa. W konsekwencji techniki molekularne to podstawowy instrument rozpoznania, monitorowania i prognozowania historii naturalnej tych chorób, kryterium kwalifikacji do leczenia i oceny skuteczności terapii. Bez nich nie byłoby możliwe stworzenie nauki zwanej epidemiologią molekularną. W efekcie mamy możliwość dość precyzyjnej oceny samego zakażenia i wprowadzania niezbędnych modyfikacji diagno-

styczno-terapeutycznych, ale zbyt mało wiemy o patomechanizmie choroby uzależnionej od indywidualnych cech osobniczych. Bez tej wiedzy nie uda się wprowadzić postulatu medycyny personalizowanej.

Inaczej przedstawił ten problem dr Stephen Jaeger, przedstawiciel R&D Roche z Bazylei. Wśród czynników warunkujących rozwój medycyny personalizowanej wymienił pacjentów, lekarzy, ustawodawcę i płatnika. Zarówno presja medyczna jak i ekonomiczna podlega rygorom oceny w kategoriach korzyść-ryzyko. Niezależnym elementem wymuszającym rozwój celowanych terapii jest oczywiście postęp technologiczny. Prelegent wskazał, że medycyna personalizowana to podstawa bardziej skutecznych oraz bardziej bezpiecznych i opłacalnych opcji terapeutycznych. Jest to priorytetem firmy którą reprezentował. Nie można nie zgodzić się z wykładowcą, że Roche to potentat w dziedzinie diagnostyki i farmacji, czy jak kto woli „teradiagnostyki”. Opisał on etapy drogi jaką należy pokonać dla osiągnięcia sukcesu, oświadczając, cytując „personalizowanie medycyny zaczyna się w sercu naszej organizacji”.

Dr Thomas Schreitmüller, odpowiedzialny w Roche za jakość produktów biotechnologicznych wyjaśnił różnice między lekami oryginalnymi, biopodobnymi i generykami oraz przedstawił technologię ich wytwarzania. Wskazał, że zgodnie z wymaganiami FDA lek biopodobny nie jest równoważny z lekiem referencyjnym, stąd stosowanie tych leków zamiennie jest możliwe dopiero po przeprowadzeniu dodatkowych badań klinicznych dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności.

Dobrym wprowadzeniem do tego wystąpienia był wykład prof. Andrzeja Więcka poświęcony profilowi bezpieczeństwa biofarmaceutyków. W przypadku leków pochodzących od żywych organizmów nawet niewielkie różnice w procesie wytwarzania mogą prowadzić do niekorzystnych skutków. Wśród nich szczególną rangę posiada zmodyfikowana immunogenność, która może przyczynić się zarówno do osłabienia, jak i zwiększenia siły działania leku, a też generować niekiedy zagrażające życiu działania niepożądane. Referent wskazał, że w Polsce brakuje uregulowań prawnych zabraniających dowolnej zamiany leku o tej samej nazwie międzynarodowej, co stwarza potencjalne zagrożenia dla pacjentów.

Interesujące były spostrzeżenia prof. Romana Kaliszana, który skoncentrował się na biofarmaceutykach jako podstawie nowoczesnej farmakoterapii. Jednoznacznie wykazał, że dla wyjaśnienia biologiczno-chemicznych zasad funkcjonowania organizmu niezbędne jest zaangażowanie co najmniej kilkunastu dyscyplin badawczych wchodzących w skład Systemiki (biomiki). Unaocznia to stopień piętrzących się przed nami trudności w drodze do zastosowania medycyny personalizowanej w praktyce. Prelegent wskazał ponadto, że około 50% leków nie jest właściwie przyjmowanych, a 15% hospitalizacji wynika z przyczyn jatrogennych oraz, iż FDA wycofało lub oznaczyło ostrzegawczo (ang. *black box warning*) ponad 10% leków wprowadzonych do leczenia w latach 1975-1999. Interesujące, że zdecydowały o tym obserwacje dokonane dopiero w czwartej fazie badań klinicznych. Nie może to jednak dyskredytować osiągnięć farmakoterapii personalizowanej, gdyż coraz

częściej kwalifikacja do terapii wymaga przeprowadzenia osobniczych badań, a niezbędne do tego techniki stają się coraz prostsze.

Reasumując, była to interesująca konferencja, zawierająca niekiedy elementy *science fiction*. Nie uciekniemy jednak od medycyny personalizowanej, gdyż byłoby to niezgodne z misją nauki zwanej medycyną. Jest ona wyzwaniem XXI w.

Waldemar Halota