

Na Masarykově univerzitě vznikne centrum pro výzkum a léčbu vzácných onemocnění

19.9.2023 - | Masarykova univerzita

Přes půl milionu lidí v České republice trpí některým ze zhruba 7000 popsaných vzácných onemocnění. Řada pacientů zároveň na svou diagnózu teprve čeká. Počet nově diagnostikovaných vzácných onemocnění se neustále rozrůstá, a proto na půdě Lékařské fakulty Masarykovy univerzity vzniká špičkové vědecké centrum, jehož úkolem bude zkoumat a vyrábět léčiva pro moderní terapie vybraných vzácných onemocnění. „Ve své původní profesi lékaře jsem se mnohokrát setkal se situací, kdy už nebylo možné pacientovi pomoci, a věřte, že jsou to silné okamžiky i pro ošetřujícího lékaře. Teď jsme však díky lékařské fakultě a jejímu projektu CREATIC zažehli pomyslné světlo naděje alespoň pro některé z nich. A jako rektor Masarykovy univerzity jsem hrdý, že zrovna naše instituce může být u takto unikátního projektu, který má za cíl pomáhat a dávat naději na život,“ uvádí rektor Martin Bareš.

Nově vznikající centrum ponese název CREATIC – tedy Central European Advanced Therapy and Immunology Centre. Působit bude ve struktuře Lékařské fakulty MU, kde se v rámci Univerzitního kampusu Bohunice začne v únoru příštího kalendářního roku s přestavbou pavilonu C03, který se stane jeho sídlem. „Naším posláním je přispívat svou vědeckou činností, vzděláváním studentů a společenským působením ke kvalitnímu a zdravému životu. Univerzity by měly být i řešitelem celospolečenských problémů a v případě vzácných onemocnění se domnívám, že výzkum, vývoj a výroba léčiv na akademické půdě bude v budoucnosti nezbytným doplňkem k činnosti farmaceutického průmyslu, pro který není kapacitně a ani ekonomicky možné vyvíjet všechna léčiva pro rychle narůstající počet velmi vzácných onemocnění,“ dodává děkan Lékařské fakulty MU Martin Repko.

V čele projektu CREATIC stojí přednostka Farmakologického ústavu Lékařské fakulty Masarykovy Univerzity Regina Demlová. Tým jejích kolegů z laboratoří v posledních letech věnoval velké úsilí vývoji somatobuněčných léčiv pro dvojici diagnóz, na které běžně dostupná chemická léčiva nezabírají. Jedná se o epidermolysis bullosa, známou jako nemoc motýlích křídel, a vzácná nádorová onemocnění postihující zejména dětské pacienty. Farmakologové pro tyto pacienty již vyvinuli dva léčivé přípravky ze skupiny moderních terapií. Prvním z nich je protinádorová vakcína, využívaná pro dětské onkologické pacienty. „Tato vakcína funguje na principu aktivace vlastního imunitního systému pacienta. V jeho těle rozpozná nádorové buňky a cíleně je ničí,“ vysvětluje docentka Demlová. Tímto typem terapie bylo v rámci klinické studie doposud léčeno více než 40 pacientů. Řada z nich je v dlouhodobé remisi onemocnění. Druhý léčivý přípravek pomáhá při hojení ran u pacientů s onemocněním motýlích křídel. „Oba typy přípravků umožňují velmi přesně a cíleně léčit právě vzácná onemocnění a je možno je vyrábět v malém rozsahu pro omezený počet pacientů,“ dodává Demlová.

Jedním z dětských pacientů, kterému již pomohla protinádorová vakcína vyrobená v laboratořích Lékařské fakulty MU, je Daniel z Ostravy, jehož onemocnění se začalo poprvé projevovat ve 14 měsících. „Nejdříve to vypadalo jako viróza, jenomže stav syna se velmi rychle zhoršoval. Danielovi byla diagnostikována rakovina. Po dvou blocích chemoterapie se ukázalo, že pro jeho typ nádoru mozku neexistuje žádné řešení, vyčerpaly se všechny dostupné možnosti léčby,“ vysvětluje paní Lydie, maminka Daniela. Rodičům tak byla nabídnuta poslední možnost: zúčastnit se klinické studie, v rámci které byl léčen protinádorovou vakcínou na bázi dendritických buněk. Chlapcovo tělo

zareagovalo na léčbu velmi pozitivně. Dnes je mu 9 let, žije v dlouhodobé remisi onemocnění, tedy bez známek onemocnění, a daří se mu velmi dobře.

Omezené možnosti léčby pacientů se vzácnými onemocněními na straně jedné a nárůst nákladů na již existující terapie na straně druhé vnímá v širším regionálním kontextu intenzivně také Evropská komise. Dosavadní práce týmu z Farmakologického ústavu Lékařské fakulty MU tak nezůstala bez povšimnutí. Pro svůj projekt získal na období nejbližších šesti let prestižní evropský grant z výzkumného a inovačního programu Teaming Horizon Europe v hodnotě 15 milionů EUR a současně z národních zdrojů OP JAK podporu ve výši přesahující 500 milionů Kč. Smyslem projektu CREATIC je kromě jiného i propojení geograficky blízkých akademických a klinických pracovišť. Vědci z Brna získají podporu zkušených kolegů z německého Institutu Fraunhofer IZI a Univerzity Lipsko, kteří již s vývojem a výrobou genových a buněčných terapií mají dlouholeté zkušenosti. Partneři z Kodaňské univerzity zase nabídnou svou odbornost v otázkách legislativy či práce s daty. „Zkušenosti s vývojem a nekomerční výrobou genových terapií ve Fraunhofer IZI jsou na národní úrovni zcela unikátní a díky partnerskému propojení a sdílení know-how tak budeme moci nabídnout léčbu těmito léčivým přípravky, vyvinutými na akademické půdě, i českým pacientům,“ říká docentka Demlová.

V Brně tak vznikne excelentní vědecké pracoviště, kde budou vyvíjena léčiva nejen pro pacienty s onemocněním motýlích křídel, ale i s dalšími chorobami, jejichž příčinou je konkrétní genová mutace. Jednou z priorit CREATICU je také otevírání společenské diskuze na téma dostupnosti péče v rámci systému veřejného zdravotnictví a problematiku „fair medicine“, tedy aby taková léčiva byla vyráběna bez maximalizace zisku a jejich cena byla pro plátce transparentní. Tato debata by měla prošlapávat cestu k léčbě pacientům, pro které v současné době žádné řešení neexistuje nebo je legislativně a finančně jen obtížně dostupné. „V souvislosti se stále se zlepšující diagnostikou a léčbou se počet pacientů za poslední tři roky zvýšil o třetinu, a protože náklady na terapie pro vzácná onemocnění stojí řádově desítky milionů korun, je zajištění zdrojů pro rozvoj této péče celospolečenskou výzvou. Vývoj a výroba takových léčivých přípravků na nekomerčním základě je jednou z cest, jak zajistit dostupnost péče a stabilitu veřejných rozpočtů,“ uzavírá Regina Demlová.

<https://www.muni.cz/pro-media/tiskove-zpravy/na-masarykove-univerzite-vznikne-centrum-pro-vyzkum-a-lecbu-vzacnych-onemocneni>