

# BUDUĆNOST JE STIGLA – LIJEKOVI KOJI MIJENJAJU NAČINE LIJEČENJA

KRAJEM KOLOVOZA I POČETKOM RUJNA AMERIČKA AGENCIJA ZA HRANU I LIJEKOVE (FDA) I EUROPSKA AGENCIJA ZA LIJEKOVE (EMA) ODOBRILE SU DESETAK LIJEKOVA KOJI BI MOGLI PROMIJENITI TIJEK LIJEČENJA DO SADA NEIZLJEČIVIH BOLESTI

SANI POGORILIĆ, INOVATIVNA FARMACEUTSKA INICIJATIVA (IFI)

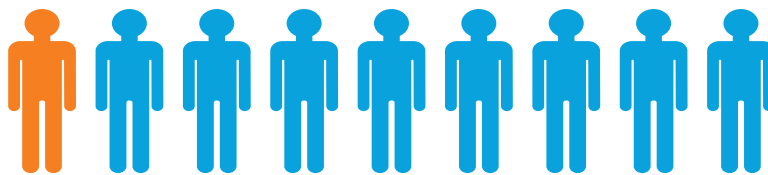
Oboljeli od različitih vrsta malignih i hematoloških bolesti, rijetkih bolesti, epilepsije i HIV-a dobivaju nove mogućnosti liječenja, a time i veću šansu za ozdravljenje i kvalitetniji život. Od početka godine, na europskom i američkom tržištu odobreno je više od stotinu novih terapija, a sve je to rezultat dugogodišnjih ispitivanja, znanja stotina vrhunskih znanstvenika i želje da se inovativnim lijekovima pacijentima omogući novi početak.

Lijekovi su jedan od najučinkovitijih i najkorištenijih alata za liječenje i izlječenje bolesti. Brojne inovacije kroz povijest poboljšale su preživljenje određenih bolesti i ukupno zdravlje čovječanstva, no i dalje se suočavamo sa značajnim nezadovoljenim medicinskim potrebama. Znanstvenici i istraživači koji rade na otkrivanju i razvoju novih lijekova oslušuju potrebe pacijenata. Ponekad mali koraci u inovaciji poput olakšavanja primjene određenog lijeka na način da, primjerice, pacijent ne mora primati lijek intravenozno, već može jednostavno uzeti tabletu, puno znače u poboljšanju kvalitete života pacijenta. Takvom vrstom terapije koju je moguće primjenjivati kod kuće izravno se rasterećuje i zdravstveni sustav, čiji se kapaciteti onda mogu posvetiti bolesnicima kojima je hospitalizacija neophodna. Kada pak

govorimo o lijekovima koji određene bolesti drže pod kontrolom ili čak u potpunosti izliječe, takva su otkrića revolucionarna.

Inovativni lijekovi su posljednjih godina doveli do smanjenja stope smrtnosti od kardiovaskularnih bolesti za približno 37 % u razdoblju od 2002. do 2012. Danas dvije od tri osobe na svijetu kojima je dijagnosticiran rak prežive najmanje pet godina, a stope mortaliteta od svih vrsta rakova od 1991. do danas pale su za 21 %.

Trenutačno u svijetu postoji oko **7.000 različitih rijetkih bolesti**. Inovativna farmaceutska industrija postigla je značajan napredak u pronalaženju lijekova za rijetke bolesti.



1 od 10 osoba u Europi i SAD-u živi s rijetkom bolešću.

Izvor: European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations



Trenutno oko 15 milijuna ljudi u Europi živi s hepatitisom C. Prva generacija lijekova [1999.-2010.] liječila je bolest uspješno u 41 % slučajeva u roku od 48 tjedana, dok današnje terapije koje pripadaju četvrtoj generaciji lijekova liječe hepatitis C u 95-96 % slučajeva u roku 8-12 tjedana. Učinkovita terapija i cijepjenje doprinijeli su borbi protiv zaraznih bolesti, a učinkoviti terapeutici transformirali su HIV/AIDS iz smrtne presude u bolest kojom se može upravljati.

Lijekovi na kojima inovativna farmaceutska industrija radi promijenit će pristup liječenju mnogih bolesti i, očekuje se, poboljšati ishode liječenja. Rad na istraživanju i razvoju lijekova otvara nova potencijalna područja djelovanja u novim indikacijama te veće koristi i mogućnosti uporabe nego što je to bilo poznato u vrijeme odobrenja lijeka. Primjerice, u praksi je u posljednjih 60 godina poboljšanje razumijevanja molekularne osnove bolesti transformiralo ono što je nekoć bilo poznato kao "bolest krvi" u više podtipova leukemije i limfoma, koji se dalje mogu tretirati personaliziranim lijekovima.

### KAKO ĆEMO LIJEČITI BOLESTI U BLISKOJ BUDUĆNOSTI?

Primjenom novih znanja i tehnologija, u idućih pet do deset godina novi inovativni lijekovi mogli bi odgovoriti na mnoge danas nezadovoljene potrebe iz područja onkologije, kardiovaskularnih i metaboličkih bolesti, hematologije, središnjeg živčanog sustava, zaraznih i ostalih bolesti koje utječu na većinu populacije te time pomoći pacijentima i društvu. Već tijekom idućih pet godina očekuje se kako će

Bolje razumijevanje bolesti i personalizirana medicina rezultirali su boljim preživljenjem pacijenata s rakom krvi u Europi

#### Poboljšano razumijevanje bolesti

Prije **60** godina

Prije **50** godina

Prije **40** godina

**DANAS**

- "Bolest krvi"
- Leukemija
- Limfom
- Kronična leukemija
- Akutna leukemija
- Predleukemija
- Indolentni limfom
- Agresivni limfom

~40 jedinstvenih **vrsta leukemije** otkriveno  
~50 jedinstvenih **vrsta limfoma** otkriveno

**230 lijekova**  
za rak krvi u razvoju u Europi

5-godišnje stope preživljenja  
kronične limfocitne leukemije  
**porasle su na 70%**

5-godišnje stope preživljenja  
Hodgkinovog limfoma  
**porasle su na 80%**

Izvor: European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations

mnogi obećavajući lijekovi postati dostupni pacijentima.

Znanstvenici su iznašli način da iskoriste vlastiti imunološki sustav tijela kako bi usmjerili imunološke stanice da ciljaju određene vrste raka krvi. **Liječenje CAR-T stanicama** podrazumijeva T-stanice koje su genetski modificirane kako bi T-stanica prepoznala i uništila tumorske stanice. Ovaj način liječenja mogao bi zamijeniti liječenje kemoterapijom i ima potencijal za spašavanje života osoba oboljelih od raka krvi. Ovdje čak ne govorimo o pet godina do dostupnosti, budući da su dva takva lijeka upravo odobrena u Europi.

Kod pacijenata oboljelih od raka, do boljih ishoda liječenja moglo bi dovesti **kombinacijsko liječenje** - mogućnost korištenja više lijekova s različitim načinima djelovanja kako bi se povećale šanse da se rak od kojeg pacijent boluje drži pod kontrolom. Kombinacijsko liječenje moglo bi produžiti živote pacijenata, povećati njihovu kvalitetu života, čak i ponuditi lijek pacijentima kojima je trenutačno dijagnoza terminalna. Kombinacijska terapija mogla bi svake godine spriječiti smrt 30 tisuća oboljelih od raka pluća nemalih stanica.

Liječenje genetskih bolesti izuzetno je izazovno, a **genska terapija** pomaže zamijeniti oštećene ili nedostajuće gene u stanicama kroz uvođenje DNA za liječenje genetskih bolesti, čime se popravila izravni uzrok genetske bolesti. Ovim načinom liječenja mogle bi se izliječiti doživotne bolesti i stanja koja ugrožavaju život, poput hemofilije.



Budući da antimikrobna rezistencija postaje sve veći problem, **antibakterijski tretmani** smanjili bi pritisak na pronalaženje novih antibiotika, neutralizirajući visoko patogene bakterijske površinske proteine ili izlučene toksine i aktivirajući imunološki sustav da izravno ubija bakterije. Antibakterijska monoklonska protutijela nude nove načine borbe protiv rezistencije na antibiotike i protiv bakterijskih infekcija. S više od 1.000 lijekova u razvoju, antibakterij-

Terapije koje se razvijaju za **nealkoholni steatohepatitis (NASH)** mogu smanjiti nakupljanje masti u jetri, čime bi čak 12 tisuća Europljana godišnje izbjegli potrebu za presađivanjem jetre. Novim terapijama u razvoju ublažit će se i napadaji **migrene** te pacijentima omogućiti kvalitetniji život.

Mogućnosti razvoja i primjene ovdje navedenih načina liječenja na druge bolesti su nebrojane. Misao vodilja onih koji rade na istraživanju i razvoju novih lijekova je bolje upravljanje bolestima i smanjenje dugoročnog liječenja koje za posljedicu iscrpljuje i pacijente i njihove obitelji, ali i cijeli zdravstveni sustav. Svaka bolest umanjuje kvalitetu života i produktivnost osobe koja boluje, kako u obitelji tako i na radnom mjestu. Svim protagonistima ovdje primarno je poboljšanje ishoda liječenja. Bolji zdravstveni ishodi i više mogućnosti liječenja koje su prilagođene potrebama svakog pacijenta, vode ka poboljšanju kvalitete života pacijenata, da žive duže, zdravije i produktivnije živote. ■

## LITERATURA

1. EFPIA Annual Report 2017
2. EFPIA: Value of Medicines. Medicines in Context. Dostupno na: <https://www.efpia.eu/about-medicines/use-of-medicines/value-of-medicines/>
3. U.S. Food & Drug Administration
4. European Medicines Agency

## NOVI NAČINI LIJEČENJA REZULTIRAT ĆE BOLJIM UPRAVLJANJEM BOLESTIMA, A TIME ĆE RASTERETITI PACIJENTE, NJIHOVE OBITELJI, ALI I ZDRAVSTVENI SUSTAV

Dijabetes tipa 1 jedno je od oboljenja koje danas zahtijeva doživotno liječenje. To bi se uskoro trebalo promijeniti korištenjem stanične terapije. **Stanična terapija** podrazumijeva umetanje živih stanica u pacijente u svrhu zamjene ili popravka oštećenog tkiva, kako bi se ubrzala poboljšana funkcionalnost organa ili tkiva. U praksi to znači da pred oboljelima više neće biti stalna terapija inzulinom, nužna za kontrolu šećera. Staničnim terapijama mogla bi se kontrolirati razina šećera u krvi kod gotovo četiri milijuna Europljana koji boluju od dijabetesa tipa 1.

skim bi se antitijelima svake godine u Europi moglo spasiti 25 tisuća života.

Dok su postojeće terapije za **Alzheimerovu bolest** usmjerene na simptome bolesti, novi tretmani usmjereni su na ranu dijagnostiku i prevenciju; ciljaju na odgodu početka i/ili napredovanja bolesti razbijanjem ili sprječavanjem nastajanja naslaga bjelančevina. Odgađanje početka ili progresije Alzheimerove bolesti pruža pacijentima mogućnost da duže vremena žive neovisno. Znanstvenici istražuju više od stotinu novih lijekova koji bi oboljelima omogućili samostalniji život.