



ZNAČAJNI LIJEKOVI U KLINIČKOM RAZVOJU

OBRADA: REDAKCIJA PHARMABIZ, IZVOR: EUROPSKO UDRUŽENJE INOVATIVNIH PROIZVOĐAČA LIJEKOVA (EFPIA)

U DOBU SMO SVITANJA PREDIKTIVNE MEDICINE, BIG DATA, NAPREDAKA U GENOMICI I PERSONALIZIRANOJ MEDICINI. TIJEKOM IDUĆIH PET GODINA ZNAČAJNE INOVACIJE PROMIJENIT ĆE ŽIVOTE PACIJENATA



Upravo svjedočimo izuzetnom napretku u području istraživanja i razvoja novih lijekova te novih zdravstvenih tehnologija koji imaju potencijal potpuno promijeniti zdravstvenu skrb, paradigme liječenja te očuvati zdravlje pojedinaca u budućnosti. Mnogi obećavajući lijekovi postat će dostupni; liječenje CAR-T stanicama (na europskom tržištu odobrene su već dvije terapije),

kombinirano liječenje malignih bolesti, genska terapija, stanična terapija, novi lijekovi za Alzheimerovu bolest, lijekovi za nealkoholni steatohepatitis (NASH), inovativni lijekovi za prevenciju i liječenje migrene (prvi lijekovi iz ste skupine već su plasirani na svjetsko tržište), a obećavajuće rezultate pokazuju i novi pristupi liječenju bakterijskih infekcija te mikrobiomske terapije. Ovo je najvećim dijelom



rezultat brzog razvoja u područjima biologije, biotehnologije i medicine.

U dobu smo svitanja prediktivne medicine, big data, napredaka u genomici i personaliziranoj medicini. Međutim, ovakav napredak ne bi bio moguć bez značajnih ulaganja u istraživanje i razvoj čiji plodovi upravo pronalaze svoj put do pacijena-

jer bi uspjeh ovakvog liječenja oboljelim omogućio kontrolu glikemije bez potrebe za primjenom egzogenog inzulina.

Genska terapija, pak, omogućuje zamjenu ili popravak nedostajućih ili oštećenih gena što otvara mogućnost liječenja genetskih bolesti, kao što je hemofilija i sl.

NOVI NAČINI LIJEČENJA REZULTIRAT ĆE BOLJIM UPRAVLJANJEM BOLESTIMA, A TIME ĆE RASTERETITI PACIJENTE, NJIHOVE OBITELJI TE CJelokUPNI ZDRAVSTVENI SUSTAV

ta. Moglo bi se reći da su neke od ključnih terapija koje će doprinijeti zadovoljavanju brojnih dosad nezadovoljenih medicinskih potreba „iza ugla“.

Jedna od obećavajućih novih terapijskih opcija bit će stanična terapija. Stanična terapija podrazumijeva umetanje živih stanica u pacijente u svrhu zamjene ili popravka oštećenog tkiva, kako bi se obnovila ili oporavila funkcija oštećenih stanica. Potencijal stanične terapije osobito je interesantan u liječenju šećerne bolesti tipa 1

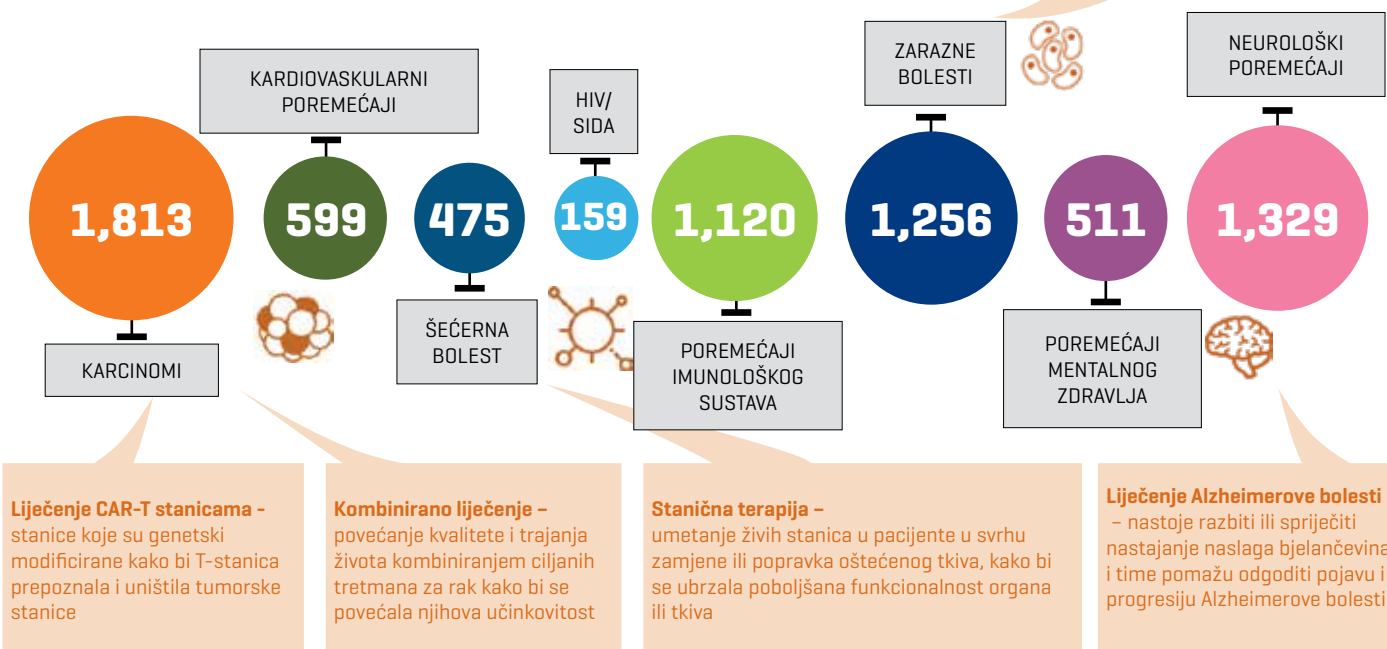
Potruga za lijekom za Alzheimerovu bolest dosad je bila obilježena brojnim neuspjesima i tek djelomičnim uspjesima no napokon se vide pozitivni pomaci u razvoju lijekova koji mijenjaju tijek bolesti koja predstavlja značajno breme za pojedinca, njegove bližnje i društvo u cjelini. Novi lijekovi omogućit će usporavanje napredovanja bolesti, a ne samo ublažavanje nekih njezinih simptoma, što je u ovom trenutku jedino moguće.

SLIKA 1. LIJEKOVI U KLINIČKOM RAZVOJU

S više od 7000 lijekova u kliničkim fazama razvoja, uzбудljiv novi val **inovativnih lijekova** igrat će ključnu ulogu u odgovoru na izazove s kojima se suočavaju pacijenti i zdravstveni sustavi

Antibakterijski tretmani –

neutraliziraju visoko patogene bakterijske površinske proteine ili izlučene toksine i aktiviraju imunološki sustav da izravno ubija bakterije.



IZVOR: EFPIA PIPELINE REVIEW, svibanj 2018.

SLIKA 2. TIJEKOM IDUĆIH PET GODINA OČEKUJE SE DA ĆE MNOGI OBEĆAVAJUĆI LIJEKOVI POSTATI DOSTUPNI PACIJENTIMA



Liječenje CAR-T stanicama – T-stanice koje su genetski modificirane kako bi T-stanica prepoznala i uništila tumorske stanice



Kombinirano liječenje – povećanje kvalitete i trajanja života kombiniranjem ciljanih tretmana za rak kako bi se povećala njihova učinkovitost



Genska terapija – pomaže zamijeniti oštećene ili nedostajuće gene u stanicama kroz uvođenje DNA za liječenje genetskih bolesti



Stanična terapija – umetanje živih stanica u pacijente u svrhu zamjene ili popravka oštećenog tkiva, kako bi se ubrzala poboljšana funkcionalnost organa ili tkiva



Antibakterijski tretmani – neutraliziraju visoko patogene bakterijske površinske proteine ili izlučene toksine i aktiviraju imunološki sustav da izravno ubija bakterije



Liječenje Alzheimerove bolesti – nastoje razbiti ili spriječiti nastajanje naslaga bjelančevina i time pomažu odgoditi pojavu i progresiju Alzheimerove bolesti



Nealkoholni steatohepatitis (NASH) – smanjuju upalu jetre i fibrozu, ali i ozbiljnosti oštećenja jetre, a u nekim slučajevima mogu i promijeniti tijek bolesti



Mikrobiomske terapije – vraćaju ravnotežu mikroorganizama u želucu da bi poboljšali ravnotežu tjelesnih sustava ili smanjili rizik ponovnog pojavljivanja teških infekcija crijeva



Liječenje migrene – znatno smanjuju broj dana koji pacijenti provode u bolovima od migrene te time poboljšavaju kvalitetu života oboljelih

IZVOR: EFPIA PIPELINE REVIEW, svibanj 2018.

U liječenju malignih bolesti svjedočimo izuzetno brzom napretku zahvaljujući primjeni kombinacija različitih terapija čime se povećava učinkovitost terapije i/ili produljuje vrijeme do napredovanja bolesti. Primjer takvih kombinacija je primjena ciljanih terapija koje napadaju tumor uz imunoterapiju koja potiče pacijentov imunostni sustav na borbu protiv tumora.

Prijetnja koju predstavljaju bakterije otporne na dostupne antibiotike jedna je od najozbiljnijih ugroza s kojima se suočava suvremeno društvo. U borbi protiv razvoja bakterijske rezistencije značajnu ulogu mogli bi imati novi pristupi liječenju bakterijskih infekcija monoklonskim protutijelima koja imaju specifičan mehanizam djelovanja i stoga su povezana s manjim rizikom od razvoja otpornosti bakterija na terapiju, a posljedično i terapijskog neuspjeha.

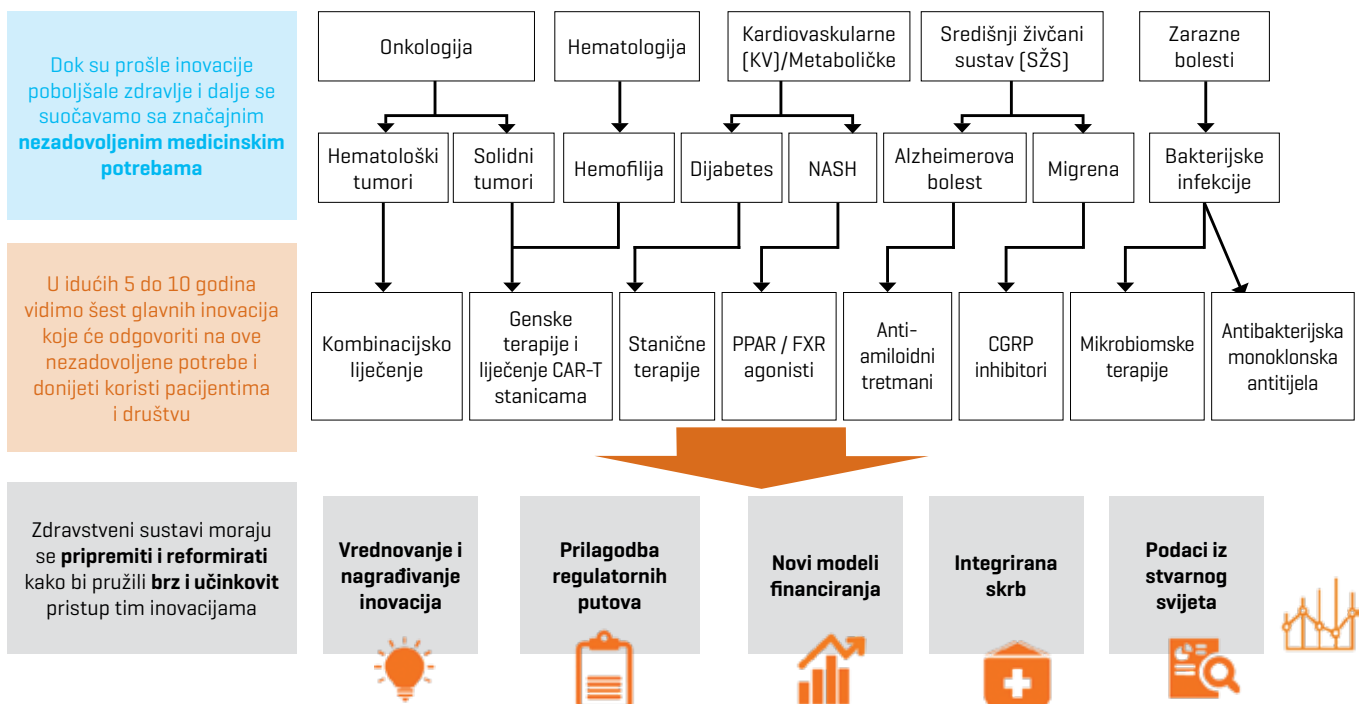
Ove inovativne terapije imaju potencijal dramatično promijeniti izgled za mnoge pacijente i njihove obitelji u Europi te dodati značajnu vrijednost europskim zdravstvenim sustavima i društvima. Kombinirano liječenje moglo bi produljiti očekivano trajanje života u onkološkim pacijenata i povećati kvalitetu života kad se kemoterapije zamijene modernim terapijama. Stanična terapija kod šećerne bolesti pacijentima će olakšati upravljanje bolešću, smanjiti rizik od teških komplikacija kao što su gubitak vida i amputacije, a manje komplikacija istovremeno će predstavljati i značajne uštede za zdravstvene sustave zbog nižih stopa hospitaliza-

cija i rehabilitacija osoba oboljelih od šećerne bolesti. Bolje terapijske mogućnosti kod Alzheimerove bolesti će pacijentima omogućiti bolju kvalitetu života, ali istovremeno i smanjiti opterećenje njihovih obitelji, pružatelja skrbi i cjelokupnog društva. Genske terapije mogle bi unaprijediti kvalitetu života osoba s hemofilijom, uštedjeti novac sustavima

zahvaljujući manjem broju hospitalizacija, smanjenom riziku od komplikacija i manjoj potrošnji lijekova koji se trenutno primjenjuju za sprečavanje krvarenja. Monoklonska protutijela s antibakterijskim djelovanjem mogla bi spašavati živote pacijenata zaraženih bakterijama otpornim na antibiotike i smanjiti broj nozokomijalnih infekcija.



SLIKA 3. PRIČA O INOVACIJAMA – PUT PREMA ISHODIMA



IZVOR: EFPIA PIPELINE REVIEW, svibanj 2018.

Nadolazeći val inovacija čini pogled u budućnost optimističnijim za sve pacijente u Europi. Međutim, nije sve tako blistavo. Postoje zapreke koje bi mogle usporiti implementaciju inovacija u zdravstvene sustave. Između ostalog, to su stare ili zastarjele zdravstvene infrastrukture, kliničke prakse, modeli procje-

ne vrijednosti novih lijekova, kao i modeli financiranja.

KAKO OSIGURATI DA NAVEDENE INOVACIJE ZAISTA DOĐU DO PACIJENATA KOJI IH TREBAJU?

Neke nove terapije promijenit će način pružanja zdravstvene skrbi, stoga zahtijevaju i promjenu same organizacije zdravstvene zaštite. Nove terapije za Alzheimerovu bolest zahtijevat će dijagnozu i početak liječenja u mnogo ranijem stadiju bolesti nego što je to slučaj danas – kako ćemo identificirati pravog pacijenta u pravo vrijeme?

Stanične i genske terapije mogle bi zamijeniti kontinuirano ili čak doživotno liječenje samo jednom intervencijom uz primjenu visoke zdravstvene tehnologije [koja je istovremeno i visoke cijene] – kako ćemo promijeniti sustav pružanja zdravstvene skrbi i iznaći modele financiranja koji će to moći osigurati?

Terapije za male populacije pacijenata, kao što su lijekovi za rijetke bolesti i genske terapije, često na tržište dolaze s manje podataka o učinkovitosti zbog nemogućnosti provedbe kliničkih ispitivanja s velikim brojem ispitanika – kako ćemo izgraditi sustav koji će prikupljati i pratiti zdravstvene ishode pacijenata u stvarnom životu koje bismo mogli upotrijebiti u procjeni vrijednosti terapije i unapređenju kliničke prakse?

Kada se protutumorski lijekovi primjenjuju u kombinaciji – kako ćemo procijeniti vrijednost

svake komponente u formiranju cijene lijeka i kako će zdravstveni sustavi plaćati kombinaciju dvije ili više terapija visoke cijene?

Antitijela s antibakterijskim djelovanjem i drugi inovativni antibiotici s učinkom na otporne bakterije trebali bi se upotrijebiti samo u slučaju da ne postoje druge učinkovite opcije – kako ćemo izgraditi model koji nagrađuje inovaciju u terapijama koje se rijetko koriste?

Odgovori na sva ova pitanja postoje, ali ih se treba pronaći planiranjem i zajedničkom suradnjom. Kreatori zdravstvenih politika, regulatori, kliničari, pacijenti i industrija moraju surađivati u razmatranju medicinskih inovacija koje će postati stvarnost u idućih nekoliko godina, pokušati procijeniti potencijalne dobrobiti koje donose te njihov utjecaj na sustav u cjelini. Zdravstveni sustavi se stalno mijenjaju, no promjene ponekad zahtijevaju vrijeme te je, stoga, nužno započeti dijalog prije nego što nove terapije postanu dostupne za široku primjenu u klinikama i bolnicama diljem EU. Industrija je spremna pomoći kreatorima u planiranju budućih zdravstvenih politika, počevši s davanjem informacija o lijekovima koji su trenutno u kliničkom razvoju. S druge strane, kreatori zdravstvenih politika bi trebali jasno komunicirati svoje prioritete i utvrditi gdje bi trebalo usmjeriti resurse da bi se odgovorilo na nezadovoljene medicinske potrebe. Vrijeme je za napuštanje bunkera i početak zajedničke suradnje s ciljem zdravije budućnosti za europske pacijente. ■

