

## V ČR se poprvé léčí dítě s leukémií pomocí geneticky upravených bílých krvinek

**Tisková zpráva, 26. května 2020 - Na konci dubna podstoupil na Klinice dětské hematologie a onkologie 2. LF UK a FN Motol unikátní léčbu leukemie 10letý chlapec. Prostřednictvím krevní transfuze mu lékaři aplikovali vlastní, geneticky upravené krevní buňky, tzv. T-lymfocyty. Ty po biotechnologickém zpracování dokážou rozpoznat nádorové buňky a následně je ničit.**

Očekává se, že pro léčbu za použití vlastních geneticky upravených buněk krve budou vhodné cca dvě až pět dětí ročně. ***„Tento nový druh léčby se indikuje u pacientů s akutní lymfoblastickou leukémií, a to v případě, že se nemoc opakovaně vrací (tzv. 2. relaps), anebo pokud pacient znovu onemocní, i když už transplantaci kostní dřene absolvoval,***“ objasňuje prof. MUDr. Jan Starý, DrSc., přednosta Kliniky dětské hematologie a onkologie 2. LF UK a FN Motol.

To je i případ 10letého Ondřeje, který onemocněl ve třech letech, kdy proběhla první chemoterapie. V šesti letech se ale jeho nemoc vrátila. Musel proto podstoupit jak další chemoterapii, tak i ozařování. V současné době se opět léčí pro další návrat onemocnění.

Přípravná fáze, která předcházela vlastnímu podání geneticky modifikovaných bílých krvinek, trvala několik týdnů. Nejdříve se muselo pacientovi odebrat potřebné množství určitého typu bílých krvinek, konkrétně T-lymfocytů. Odběr na speciálním přístroji tzv. separátoru se uskutečnil v Oddělení krevní banky FN Motol a trval 4 hodiny. Buňky se krátce po odebrání zmrazily v tekutém dusíku při teplotě -180 °C, aby se zachovala jejich životaschopnost. Po několika dnech byly zamražené buňky odeslány do USA (Morris Plains, New Jersey), kde je zatím výroba tohoto léku centralizovaná. Postupně by se část výroby určená pro Evropu měla přesunout na okraj Paříže.

***„T-lymfocyty jsou zásadní buňky imunitního systému a jsou zodpovědné za speciální imunitní procesy včetně protinádorové imunity. Pomocí biotechnologických postupů (metod genetického inženýrství) se upraví tak, aby na povrchu nesly receptor, díky kterému rozpoznají leukemické buňky a dokáží je zničit. Využívá se schopnosti imunitního systému pacienta, a proto se tento typ léčby označuje jako imunoterapie,***“ vysvětluje MUDr. Lucie Šrámková, Ph.D., ošetřující lékařka malého pacienta.

Poté, co byl lék připravený, byl doručený ve speciální nádobě s tekutým dusíkem přímo na kliniku, kde se do pěti dnů od doručení musel podat. Pokud by to nebylo možné, například při nepříznivém stavu pacienta, lze ho uchovat řadu měsíců v tekutém dusíku v laboratoři. Vlastní aplikace je pak už snadná. Po rozmrazení se buňky podávají pacientovi krátkou infuzí do žíly a geneticky upravené T-lymfocyty pak začnou „zabíjet“ buňky nádorové.

Pacient musí před vlastním podáním podstoupit chemoterapii, která má především snížit počet a funkčnost pacientových lymfocytů, aby se uvolnilo místo pro ty, které dostane. Reakce na podání může být někdy velmi dramatická s vysokými horečkami, zhoršeným dýcháním, poklesem krevního tlaku, neurologickými projevy atd. To, že terapie funguje, je možné z krátkodobého hlediska vidět, když se dostaví nějaká mírná reakce na podání (např. zvýšená teplota). Během několika dnů by měly z krve i kostní dřeně vymizet všechny buňky, které nesou povrchový znak, proti kterému cílí tato léčba. V krvi ale lékaři mohou sledovat i to, jak dlouho přežívají podané upravené T-lymfocyty. Z dlouhodobého hlediska terapie funguje, pokud už se onemocnění nikdy nevrátí a pacient je vyléčen.

Malý Ondřej byl ve FN Motol hospitalizovaný jeden týden před podáním. Propuštěn do domácí péče byl po dvou týdnech od aplikace v celkově velmi dobrém stavu. Další pravidelné kontroly probíhají ambulantně.

**Kontakt pro média:**

**Pavλίna Danková, tel: 724 227 503, e-mail: [pavlina.dankova@fnmotol.cz](mailto:pavlina.dankova@fnmotol.cz)**