

<https://n1info.si/poglobljeno/slovenski-center-za-...>

1 / 9

# Slovenski center za upanje: genska terapija na dosegu roke

POGLOBLJENO | Avtor: Staš Zgonik | 10. Sep 2023 05:30 | 0 komentarjev

Delite:



Kako bi lahko 30-milijonska naložba okrepila slovensko medicino in kako zagotoviti, da bodo napredne oblike zdravljenja najtežjih bolezni tudi brez "zbiranja zamaškov" dostopne čim širšemu krogu ljudi.

Medicina v zadnjem času zdravi bolezni, ki so še nedolgo tega veljale za neozdravljive. Nekatere rake, tudi v zadnjem stadiju, je mogoče učinkovito uničiti z enim samim odmerkom bolnikovih predelanih imunskih celic. Nekatere redke genske bolezni je že mogoče pozdraviti z zamenjavo okvarjenega gena v bolnikovih celicah. A vsa ta zdravljenja so pošastno draga, velikokrat jih zavarovalnice, ker še niso odobrena, ne krijejo. Večkrat jih z zbiranjem sredstev zato plačamo državljani, kot se je denimo zgodilo v primeru dečka Krisa in genskega zdravila Zolgensma. Ko so zdravila enkrat registrirana na evropskem trgu, velike zneske zanje plačuje tudi zdravstvena zavarovalnica. V Sloveniji bo zdaj za 30 milijonov evrov zrasel znanstveni center, v katerem si bodo prizadevali, da bi lahko čim večjemu številu ljudi omogočili dostop do nekaterih najbolj naprednih načinov zdravljenja. S tem ko bi priprava in izvedba terapij ostala doma, bi se namreč postopek tudi pocenil. Ta teden so projekt – Center za tehnologije genske in celične terapije (CTGCT) – tudi uradno zagnali. Naslovna fotografija je simbolična, arhitekturni natečaj za novo stavbo še ni bil objavljen.

<https://n1info.si/poglobljeno/slovenski-center-za-...>

2 / 9



"Gensko zdravilo se bo imenovalo Urbagen, po Urbanu"

POGLOBLJENO | 05:30 | 0

Projekt je nastal pod okriljem **Kemijskega inštituta**, njegova gonilna sila pa je vodja tamkajšnjega odseka za sintezno biologijo in imunologijo dr. **Roman Jerala**. "Ideja o osnovanju takšnega centra se je porodila ob zavedanju, da lahko in moramo nekaj ukreniti, da olajšamo prenos svojih znanstvenih dosežkov, ki so pogosto v svetovnem vrhu, do zdravnikov in bolnikov." Bolnikom namreč znanstveni uspehi sami po sebi ne pomagajo, treba jih je uporabiti pri razvoju, proizvodnji in preizkušanju zdravil, kar zahteva drugačna znanja in veliko dodatnega denarja.

prof. dr. **Roman Jerala** (Foto: Denis Sadiković/N1)

## Pocenitev razvoja zdravil za redke bolezni

Zamisel, ki je s prijavo na evropski razpis dozorela spomladi 2021, je tlela že dalj časa. Eden od spodbujevalnih dejavnikov je bila tudi zgodba dečka Urbana, ki se je rodil z redko, a hudo gensko okvaro, za katero so značilne motnje v duševnem in motoričnem razvoju, motnje vida in vedenjske težave. Urbanova mama **Špela Miroševič** je ustanovila fundacijo CTNNB1, zagnala akcijo zbiranja denarja in se v navezi z znanstveniki, tudi dr. Jeralo, lotila razvoja genske terapije, ki za zdaj uspešno poteka.



### Drago Ivanuša: "Ni mi treba več jemati zdravil ..."

POGLOBLJENO | 05:30 | 0

Razvoj zdravila za Urbana, ki bi mu nadomestilo okvarjeni gen, je v glavnem potekal v Avstraliji, proizvodnja bo v Španiji, pomemben del raziskav so opravili tudi v Sloveniji. Z novim centrom pa bi lahko še večji del razvoja in preizkušanja terapije ostal v Sloveniji. "Drznem si misliti, da je tudi Urbanova zgodba dodatno spodbudila pristojne, da so začeli še resneje razmišljati o ustanovitvi takšnega centra," nam je povedala Špela Miroševič.

"Gensko zdravilo se bo imenovalo Urbagen, po Urbanu," nam je povedala Špela Miroševič **za današnji članek v rubriki Poglabljeno, v katerem pišemo o njeni in Urbanovi zgodbi.**



Špela Miroševič (Foto: Denis Sadikovič/N1)

<https://n1info.si/poglobljeno/slovenski-center-za-...>

4 / 9

Kot je dejal dr. Jerala, se želijo v Centru za tehnologije genske in celične terapije osredotočiti na razvoj zdravil za redke bolezni, pri katerih farmacija zaradi majhnega števila bolnikov nima niti interesa za razvoj, ali pa zdravilu postavijo vrtoglavo ceno. "Mislim, da lahko akademski laboratoriji takšna zdravila razvijejo precej ceneje in najbrž tudi hitreje. Terapija za Krisa, ki jo je razvilo farmacevtsko podjetje Novartis, je samo zanj stala več kot dva milijona evrov. Zdravilo za Urbana bo razvito za primerljiv znesek, če bo učinkovito, pa bo lahko pomagalo ne samo njemu, ampak tudi drugim otrokom s to boleznijo."

## "Zamaški" še niso zgodovina

Dr. Jerala ob vsem optimizmu nikakor noče obljubljeni, da se bodo zmogli ukvarjati z vsemi redkimi boleznimi. "Seveda bodo naše zmogljivosti omejene, bo pa z vsakim uspešnim korakom nadaljevanje lažje. V okviru našega centra bomo imeli medicinski svet, ki bo svetoval, kakšne so prioritete in v katere bolezni se je najbolj smiselno usmeriti."

Prav tako priznava, da brez prispevkov državljanov verjetno še nekaj časa ne bo šlo. "Zaenkrat se bojim, da bodo najbrž še potrebne neke 'gasilske' akcije zbiranja sredstev za vsakega pacienta." Sredstva, ki so jih dobili v okviru evropskega projekta, so namreč namenjena gradnji stavbe, nakupu opreme in zaposlitvi raziskovalcev. Za občutne stroške reagentov in materiala pa bodo morali denar iskati drugod.



Odprto je tudi vprašanje financiranja zavarovalnice. "Zdravstvena zavarovalnica krije le stroške odobrenih zdravil, ne pa eksperimentalnih terapij. Se bo pa to morda spremenilo, saj pri redkih boleznih ne bo večjega kliničnega testiranja, ker je število pacientov omejeno in bodo morda kar vsi zdravljeni v okviru kliničnih študij. To je sicer vprašanje, s katerim se sooča večina zdravstvenih sistemov po svetu."

## 15 evropskih, 15 domačih milijonov

15 milijonov evrov za center bo prispevala Evropska unija iz svojega programa obzorje za financiranje znanosti, dodatnih 15 milijonov bo dodalo slovensko ministrstvo za visoko šolstvo, znanost in inovacije. Do leta 2027 naj bi ob **Kemijskem inštitutu** stala nova zgradba s sodobno opremljenimi laboratoriji. Raziskovalno delo pa se bo seveda začelo že prej.

Pri tem bodo **Kemijskemu inštitutu** v pomoč tuji partnerji, ugledne univerze iz Velike Britanije, Nizozemske in Nemčije, ki imajo na področju prenosa medicinskih raziskav v klinično prakso že veliko izkušenj. "Bistvo tega evropskega razpisa je ravno v tem, da se mora prijavitelj iz raziskovalno manj intenzivne države povezati z institucijami iz bolj razvitih držav, ki potem delujejo kot nekakšni mentorji," nam je povedal dr. Jerala. Dobili so torej evropski denar in še izkušene svetovalce.

## Upanje za bolnike z rakom

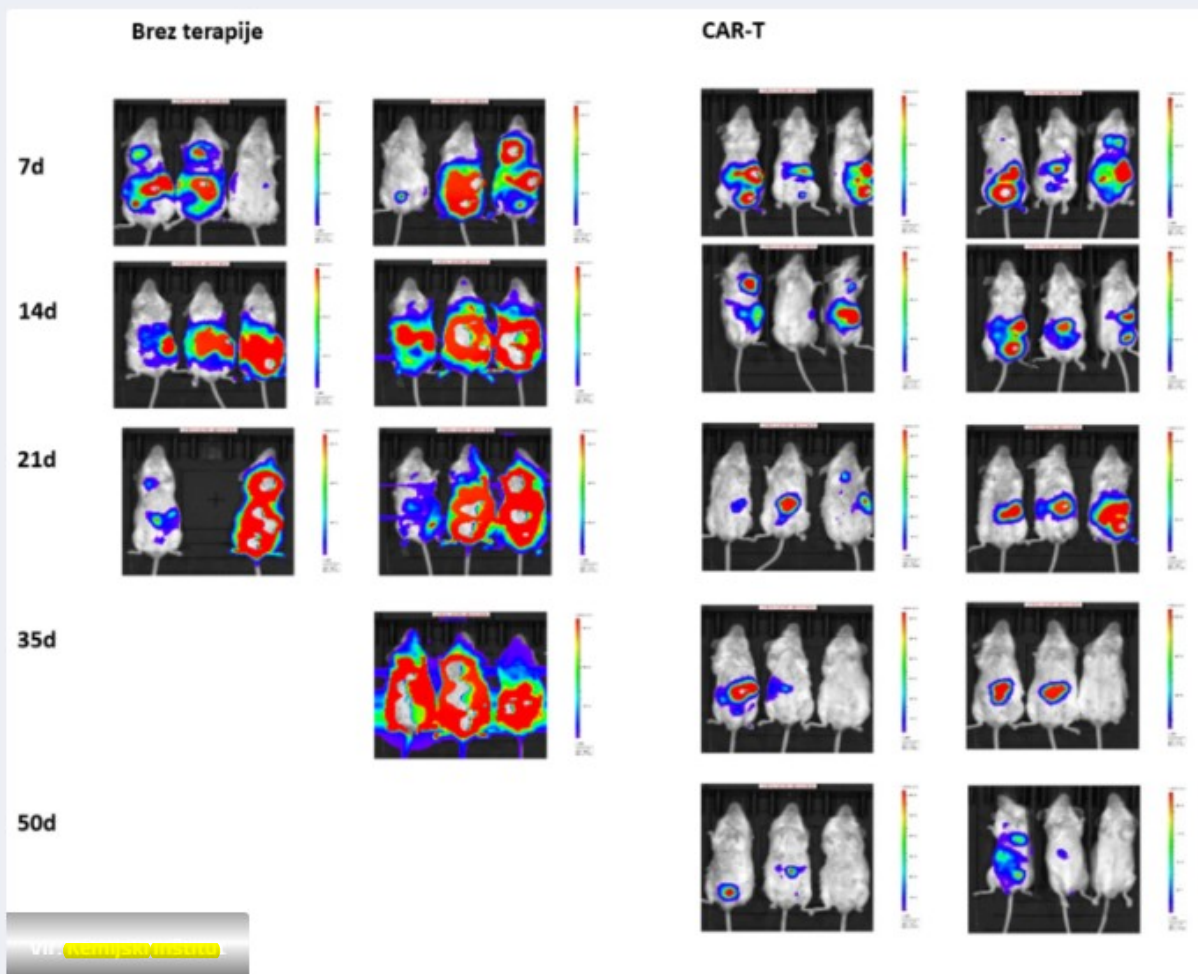
Niso pa redke bolezni edino področje, s katerim se nameravajo ukvarjati. Še bistveno več ljudem bi lahko koristile izboljšave in pocenitve v imunoterapiji raka. Projekt, ki se ga v centru že lotevajo, je lasten razvoj in pocenitev orodij za terapijo s celicami CAR-T, ki žanje velike uspehe pri zdravljenju več vrst raka. Gre za postopek, pri katerem iz krvi izločijo bolnikove lastne limfocite T, ki so kot del imunskega sistema zadolženi za uničevanje okvarjenih celic, in jih gensko spremenijo tako, da so sposobni prepoznati in uničiti rakave celice, ter jih nato vrnejo bolniku.



### Znano je, kdaj se bo začel pričakovani odlov nutrij

SLOVENIJA | 08. Sep 2023 | 7

Do zdaj so maloštevilne slovenske bolnike na takšno zdravljenje pošiljali v tujino, še letos pa naj bi bili prvi bolniki te terapije deležni tudi v Sloveniji, v ljubljanskem kliničnem centru. Za vnos spremenjenega genskega zapisa v limfocite T porabljajo virusne vektorje, ki jih morajo trenutno dobivati iz tujine. V Centru za tehnologije genske in celične terapije načrtujejo, da bodo virusne vektorje lahko pripravljali sami, kar bi terapijo precej pocenilo, predvsem pa bi želeli vanje vnesti izboljšave, kar bi terapijo okrepilo. "Naš cilj je, da terapijo nadgradimo," je napovedal dr. Jerala. "Da ustvarimo povsem nove virusne vektorje, s katerimi bi bila terapija boljša, bolj učinkovita za več vrst raka in bolj varna, pri čemer bomo uporabili orodja, ki smo jih razvili."



Slika prikazuje rast tumorjev v miših preko luminiscence, ki jo oddajajo spremenjene tumorske celice. Pri miših, ki so zdravljene s CAR-T celicami, je intenziteta bistveno manjša. Pri miših brez terapije intenziteta barve narašča in kjer miši ni, pomeni, da so podlegle raku. Npr. po 35 dneh jih je živih le pol, po 50 dneh nobena, za razliko od zdravljenih. Eksperiment je izvedel dr. Duško Lainšček.

## "Farmacija lahko postavi takšno ceno, kakršno hoče"

Kot je dejal dr. **Samo Zver**, predstojnik kliničnega oddelka za hematologijo v ljubljanskem UKC, kjer bodo zdravili te bolnike, obstajajo tri kategorije terapije CAR-T. "Najdražje je, če celoten postopek kupiš pri farmacevtski družbi, dobiš pa na mizo že pripravljeno jed. Mi bomo zdaj dobili makarone v vrečki, skuhati in začiniti pa jih bomo morali sami. Od Centra za tehnologije genske in celične terapije pa pričakujem, da bodo začeli sami proizvajati 'makarone', torej virusne vektorje, s pomočjo katerih bi celoten postopek ostal doma in se bistveno pocenil."

<https://n1info.si/poglobljeno/slovenski-center-za-...>

7 / 9

Če pošljejo bolnika na zdravljenje v tujino, je dejal Zver, to zavarovalnico stane pol milijona evrov. Z lastnimi aparaturami jim bo ceno zdravljenja uspelo prepoloviti. Za lastnimi virusnimi vektorji bi jo lahko znižali za na tretjino cene. Predvsem pa bi bili lahko slovenski pacienti deležni terapij, ki komercialno še niso dostopne.



prof. dr. Samo Zver (Foto: Denis Sadiković/N1)

Dr. Zver opozarja, da je zanašanje na lastne vire in znanje edina rešitev za vedno dražjo medicino. "Farmacija lahko postavi takšno ceno, kakršno hoče. Razumem, da hoče zaslužiti, to se mi zdi legitimno. A zakaj mora zaslužiti 20-krat več od vložka? Po mojem bi bilo dovolj petkrat več, ali pa trikrat več. Ta pohlep me zelo moti. Balon ekstremno dragih zdravil in kroničnih terapij se napihuje. In ko bo enkrat počil, bo počil za vse nas."

**"Ni mi več treba jemati zdravil," je v današnjem članku, v katerem pišemo tudi o njegovi bolezni in izkušnji, v rubriki Poglabljeno** povedal slavni glasbenik Drago Ivanuša. Njegova bolezen je po zaslugi CAR-T terapije že osem mesecev v remisiji.

## Kredibilna pomoč kot zaščita pred "lažnimi preroki"

Na naraščanje stroškov za zdravila opozarja tudi dr. Damjan Osredkar, predstojnik nevrološkega oddelka na ljubljanski pediatrični kliniki, kjer obravnavajo številne primere redkih genskih okvar. "Zdravniki in raziskovalci, pa tudi bolniki z redkimi boleznimi, smo sedaj v nenavadni situaciji. Po eni strani smo vsi fascinirani nad obstojem novih prebojnih terapij in možnostmi za boljše življenje, ki jih omogočajo bolnikom, po drugi strani pa smo frapirani nad enormnimi zneski, kolikor takšna

<https://n1info.si/poglabljeno/slovenski-center-za-...>

8 / 9

zdravljenja stanejo."

Na njihovem oddelku so do zdaj dvema otrokoma s spinalno mišično atrofijo omogočili enako gensko terapijo, kot jo je v ZDA prejel deček Kris. "Dve leti po zdravljenju oba odlično napredujeta." Dva slovenska otroka jim je uspelo vključiti tudi v mednarodno študijo genske terapije za Duchennovo mišično distrofijo, ki so jo razvili v ZDA.



Drago Ivanuša: Glasba me je že večkrat rešila

INTERVJUJI | 19. Dec 2021 | 0

A hkrati z izjemnimi rezultati in napredkov se, opozarja dr. Osredkar, pri nas in drugod "na žalost pojavljajo 'lažni preroki', ki obljublajo vse mogoče, pri čemer se bojim, da njihovi vzgibi niso človekoljubni, ampak predvsem koristoljubni". Bolniki in javnost so posledično zmedeni in ne vedo, kam se obrniti po pomoč. In to bo po njegovem mnenju največja dodana vrednost nastajajočega Centra za tehnologije genske in celične terapije.



prof. dr. Damjan Osredkar (Foto: Denis Sadiković/N1)



<https://n1info.si/poglabljeno/slovenski-center-za-...>

9 / 9

"S **CTGCT** bomo dobili kredibilno platformo, kjer bomo lahko strokovnjaki presodili, kateri projekti imajo največ možnosti za uspeh, kjer bomo lahko z obstoječimi znanji in pa povezovanjem s tujimi raziskovalnimi centri zgradili nove terapije, jih kredibilno preizkusili in preverili, da bomo prepričani, da so varne in učinkovite, potem pa jih v okviru kontroliranih študij ponudili bolnikom." Slovenija bo po njegovih besedah tako postala močno središče razvoja novih terapij v regiji, bolniki pa bodo vedeli, kam se lahko obrnejo po kredibilno pomoč.

## Prva slovenska klinična študija genske terapije

Neodvisno od Centra za tehnologije genske in celične terapije je sicer v Sloveniji že potekala klinična študija genske terapije. Na Onkološkem inštitutu so od konca leta 2021 v prvi fazi kliničnega preizkušanja preverjali, kako bolniki s kožnimi tumorji glave in vratu prenašajo gensko terapijo, katere cilj je gensko spremeniti rakaste celice. "Bolnike bomo zdravili z gensko terapijo, tako da jim bomo najprej vbrizgali genski zapis za interleukin-12, ki ga bomo vnesli v celice tumorja z elektroprenosom. Celice bodo same proizvajale interleukin-12, ki ima sposobnost spodbujanja imunskega sistema in s tem deluje tudi protitumorsko," je takrat pojasnil vodja raziskave dr. **Gregor Serša** z oddelka za eksperimentalno onkologijo.

Ta teden nam je povedal, da so prvo fazo študije zaključili junija letos, trenutno pa obdelujejo pridobljene podatke. "Študija je pokazala varnost in sprejemljivost terapije." Zdaj želijo študijo nadaljevati z drugo fazo, v kateri bi gensko terapijo kombinirali z obsevanjem ali elektrokemoterapijo, a sredstev za izvedbo za zdaj nimajo zagotovljenih.