



Medexpress, 2020-09-08 11:02

## Przełomowa metoda leczenia miastonii gravis z finansowaniem ABM



Uniwersytet Medyczny w Lublinie rozpoczął realizację badania klinicznego dedykowanego pacjentom z miastenią. Projekt uzyskał 26 mln zł grantu w ramach pierwszego konkursu Agencji Badań Medycznych na działalność badawczo-rozwojową.

Miastenia gravis to choroba autoimmunologiczna z grupy chorób nerwowo-mięśniowych polegająca na zaburzeniu transmisji nerwowo-mięśniowej. W wyniku nadmiernej aktywacji układu immunologicznego powstają nieprawidłowe przeciwciała, co doprowadza do osłabienia mięśni.

Najczęściej choroba zaczyna się od pojawienia się niedowładów mięśni twarzy, opadania powiek, dwojenia w oczach, trudności w mówieniu, połykaniu. Później może dojść do uogólnienia choroby, gdzie atakowane są inne grupy mięśni. Pacjent rano jest w miarę sprawny, zaś w ciągu dnia, wraz z aktywnością codzienną zaczynają słabnąć mięśnie. Najbardziej niebezpieczne jest zajęcie mięśni oddechowych. Dochodzi wówczas do przełomów miastenicznych, co może doprowadzić do śmierci.

### Tradycyjne metody leczenia

Leczenie objawowe ma na celu zwiększenie siły mięśni. Drugim równoległym postępowaniem jest osłabianie układu immunologicznego, aby nie atakował własnych struktur. Wśród różnych opcji terapeutycznych w pierwszej linii stosuje się sterydy. Niestety takie leczenie musi być prowadzone przewlekłe, stąd liczne działania niepożądane. *W przełomach immunologicznych stosujemy terapię oczyszczania krwi z przeciwciał, czyli plazmaferezę, albo podajemy immunoglobuliny. Są to metody*

doraźne, ratunkowe, które mogą wyprowadzić z przełomu miastenicznego, natomiast nie nadają się do długofalowej, przewlekłej terapii. Dlatego konieczne było poszukiwanie nowych leków – podkreśla prof. Konrad Rejdak kierownik Katedry i Kliniki Neurologii, Uniwersytet Medyczny w Lublinie.

### **Pionierska metoda leczenia z zastosowaniem kladrybiny**

Kladrybina jest znana od około 30 lat. Powstała jako lek mający leczyć wybrane postaci białaczek, gdyż uszkadza i niszczy limfocyty. Okazała się bardzo skuteczna w wybranych typach białaczek. Kladrybiną zainteresowano się również w leczeniu stwardnienia rozsianego, gdyż w tym przypadku też dochodzi do nadmiernej aktywacji układu immunologicznego. Obecnie lek ten zarejestrowany jest w tym wskazaniu.

W innowacyjnym projekcie opracowanym w Uniwersytecie Medycznym w Lublinie, którego autorem jest prof. Konrad Rejdak zastosowano kladrybinę w leczeniu chorych z miastenią gravis, jako oryginalną metodą terapeutyczną w skali światowej.

Pilotażowe badanie wykazało dużą skuteczność nowej metody. W miastonii lek podawany jest w ramach krótkiej kuracji, ale efekt kliniczny trwa długo. *Wybiórczo uszkadzamy nieprawidłowe limfocyty, przerywamy leczenie i pozwalamy, aby odrodziły się limfocyty o prawidłowych właściwościach. Dzięki temu długo utrzymuje się efekt kliniczny, a pacjent nie musi przyjmować leków. To duża zaleta tej terapii.* – podsumowuje prof. Konrad Rejdak.

W Polsce na miastenię choruje ponad 10 tysięcy osób, a szczególny wzrost zachorowań widać u osób w wieku dorosłym i podeszłym z chorobami współistniejącymi. Terapia sterydowa u osoby starszej nasila wiele innych chorób współistniejących, jak cukrzyca, czy osteoporoza. W przypadku nowego leku nie ma takiego ryzyka, a krótka terapia daje długi efekt kliniczny.

**Wyniki badania pilotażowego** opublikowane zostały na łamach *European Journal of Neurology*, i odbiły się one szerokim echem na świecie. Również pismo *Nature* skomentowało te wyniki pisząc, że to bardzo ciekawa i obiecująca terapia dla chorych z miastenią.

Źródło: ABM