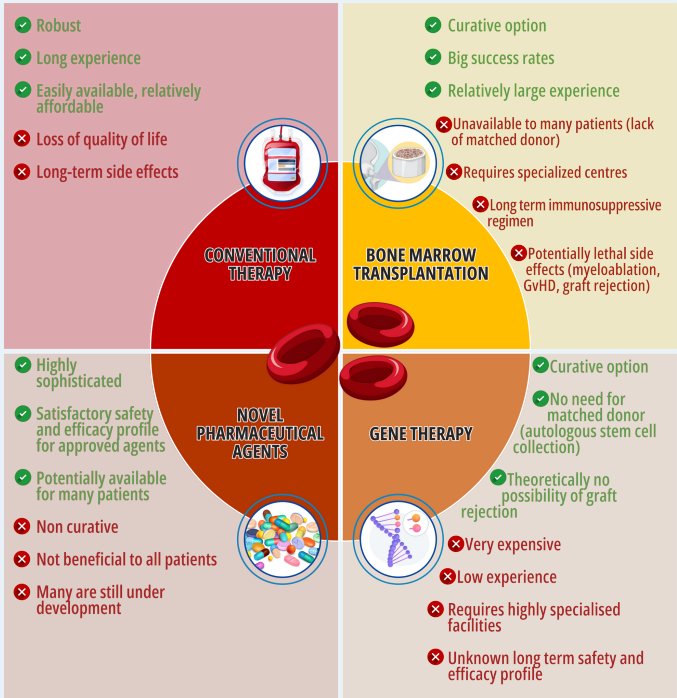
ДАЛИ ИМА ДРУГИ НОВИ ТЕРАПИИ ЗА ТАЛАСЕМИЈА?

Ново фармацевтско средство кое влезе на пазарот во последниве години е Luspatercept-Aamt, провокатор за созревање на еритроидите, односно средство кое делува во доцните фази на созревање на црвените крвни зрнца. Го продолжува животниот век на црвените крвни зрнца кои пациентите со таласемија ги создаваат, овозможувајќи им да созреат наместо да бидат предвремено уништени (хемолиза).

На овој начин, нивото на хемоглобин се покачува и временскиот интервал меѓу трансфузиите се зголемува. На долг рок, намалената потреба за трансфузија помага да се намали преоптоварувањето со железо и да се намали потребата од хелаторна терапија, со што се има помалку болнички посети и подобар квалитет на живот.

Luspatercept-Aamt може да биде особено корисен кај таласемијата што не е зависна од трансфузија, бидејќи го зголемува нивото на хемоглобин за 1,0 1,5 g/dL и во некои случаи ги намалува трансфузиите дури за 100%.



ШТО ПРАВИ МФТ?

Меѓународната федерација за таласемија (МФТ) е непрофитна, невладина организација која претставува над 226 национални здруженија за таласемија од 66 земји низ светот и е посветена на поддршката за еднаков пристап на секој пациент со таласемија до здравствена, социјална и друга грижа во рамките на здравствена нега целосно фокусирана кон пациентот.

Федерацијата работи во официјални односи со Светската здравствена организација (СЗО) од 1996 година, во посебен консултативен статус со Економско-социјалниот совет на Обединетите нации (ECOSOC) од 2017 година и во официјално партнерство со Европската комисија од 2018 година.

НЕЈЗИНАТА ОБЕМНА ОБРАЗОВНА ПРОГРАМА ВКЛУЧУВА ОПШИРНА СЕРИЈА НА МЕЃУНАРОДНО ПРИЗНАТИ ИЗДАНИЈА, КАКО И НАСТАНИ, КОНФЕРЕНЦИИ, РАБОТИЛНИЦИ, СТИПЕНДИИ ИТН., СО ЦЕЛ ДА СЕ ОБЕЗБЕДАТ ДОЖИВОТНИ ОБРАЗОВНИ МОЖНОСТИ ЗА ЗДРАВСТВЕНИТЕ РАБОТНИЦИ, ПАЦИЕНТИТЕ И НИВНИТЕ СЕМЕЈСТВА, ДА СЕ ПОДИГНЕ СВЕСТА ЗА ТАЛАСЕМИЈА КАЈ КРЕАТОРИТЕ НА ПОЛИТИКИТЕ И ЗАЕДНИЦАТА ВО ЦЕЛИНА И ПРОМОВИРАЊЕ ДЕЛОТВОРНИ ПРОГРАМИ СПЕЦИФИЧНИ ЗА БОЛЕСТА ЗА ПРЕВЕНЦИЈА, КОНТРОЛА И КЛИНИЧКО УПРАВУВАЊЕ НА ТАЛАСЕМИЈАТА ВО НАЦИОНАЛНИТЕ ЗДРАВСТВЕНИ СИСТЕМИ ЗАСНОВАНИ НА УНИВЕРЗАЛНА ПОКРИЕНОСТ.

За повеќе информации , можете да ја посетите веб-страната
www.thalassaemia.org.cy

THALASSAEMIA INTERNATIONAL FEDERATION

THALIA

Co-funded by the European Union

© THALASSAEMIA INTERNATIONAL FEDERATION 2023
ALL RIGHTS RESERVED

Thalassaemia International Federation
31 Ifigenias Street, 3rd Floor, 2007 Strovolos, Nicosia Cyprus
P.O. Box 28807, 2083 Strovolos, Nicosia Cyprus
Tel: +357 22 319 129 • Fax: +357 22 314 552
E-mail: thalassaemia@cytanet.com.cy
Website: http://thalassaemia.org.cy

Преведенона македонски од Наталија Галачева Димитриева,
хонорарен преведува

ЛЕКУВАЊЕ НА ТАЛАСЕМИЈА:
Нови напредоци, нова надеж

КОЈ Е СЕГАШНИОТ ТРЕТМАН НА ТАЛАСЕМИЈАТА?

Таласемијата е наследна форма на анемија, кога телото не може да произведе доволно здрави црвени крвни зрнца поради дефекти во хемоглобинот, протеинот во овие клетки.

Третманот на таласемија се состои од редовна трансфузија на крв (обично еднаш на секои 2-5 недели) за пациенти со таласемија мајор или таласемија зависна од трансфузија или повремено (на пример за време на инфекции, бременост или на секои неколку седмици или месеци) за пациенти со таласемија независна од трансфузии.

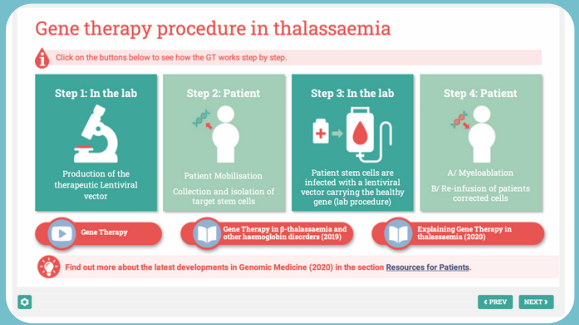
Покрај тоа, пациентите мора да земаат хелаторна терапија (апчиња или течни раствори кои се администрираат субкутано) за да се намалат нивоата на токсичното железо што се акумулира во телото поради хроничните трансфузии. Пациентите мора да бидат згрижени во специјализирани центри за таласемија од страна на медицински специјалисти кои соработуваат со други здравствени работници од различни медицински дисциплини со цел да се обезбеди мултидисциплинарна, холистичка нега. Тоа е така, бидејќи таласемијата е нарушување што може да влијае на речиси секој витален орган на телото.

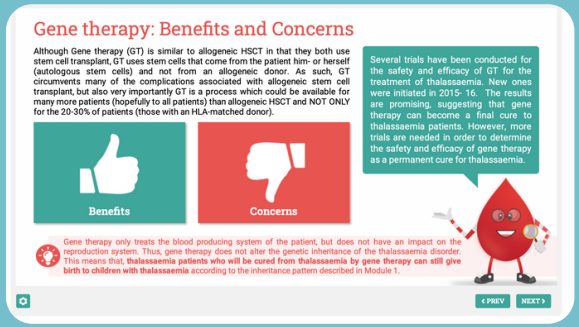
Ако се следи правилно, конвенционалната терапија е многу ефикасна, а пациентите можат да уживаат многу добар квалитет на живот и да постигнат речиси нормален животен век.

Дефинитивен лек може да се постигне со трансплантација на коскена срцевина, но главно се препорачува за млади, добро третирани педијатриски пациенти со целосно усогласен донатор од брат или сестра за да се постигне успех. Постојат ризици поврзани со оваа процедура, првенствено поврзани со третманот што го добиваат пациентите пред трансплантацијата и проблемите со плодноста.

ШТО Е ГЕНСКА ТЕРАПИЈА?

Генската терапија е нов и возбудлив терапевтски пристап кој теоретски би можел да обезбеди дефинитивен лек потенцијално достапен за сите пациенти. Генската терапија доаѓа до коренот на проблемот, неисправниот ген во структурата на пациентот и обезбедува копии од здравата верзија на генот или ги активира алтернативните генетски патишта, што доведува до производство на повисоки нивоа на други видови на хемоглобин, вклучувајќи го и феталниот хемоглобин (HbF), а со тоа доведува до здрави црвени крвни зрнца. На овој начин, пациентите можат да бидат независни од трансфузии, или барем драстично да се намали потребата од трансфузии.





Извадок од TIF's Thal eCourse за пациенти и родители
Извор: еАкадемија на ТИФ

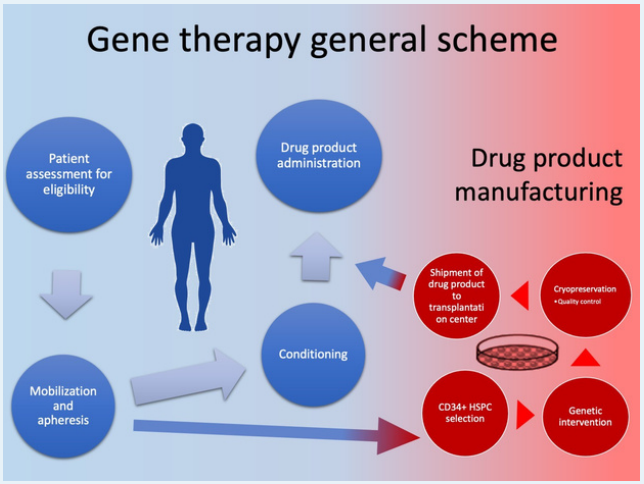
КАКО ФУНКЦИОНИРА ГЕНСКАТА ТЕРАПИЈА?

Повеќето третмани со генска терапија, веќе одобрени или сè уште се развиваат, ја следат истата шема. Општо земено, откако пациентот ќе се смета дека е во добра општа здравствена состојба за да се подложи на третманот, хематопоетските прогениторни матични клетки (кои формираат крв) се мобилизираат (собираат) и одредена количина од нив се отстранува преку вените на пациентот.

Овие прогениторни матични клетки се наоѓаат во коскената срцевина која произведува црвени крвни зрнца. Потоа тие се испраќаат во централна специјализирана лабораторија, каде што се подложени на генетска интервенција (модифицирање), а потоа крајниот производ што ги содржи модифицираните клетки се испраќа во соработнички центар за трансплантација.

Пациентот е подложен на хемотерапија, или третман за подготовка, за да се намалат „нездравите“ матични клетки и да се направи простор во коскената срцевина за новите клетки да растат. Новите третирани матични клетки се даваат на пациентот интравенски, слично како трансфузија на крв. Во следните денови, овие клетки се размножуваат и ја пополнуваат коскената срцевина, со модифицираните клетки кои сега ќе произведуваат нормални црвени крвни зрнца.

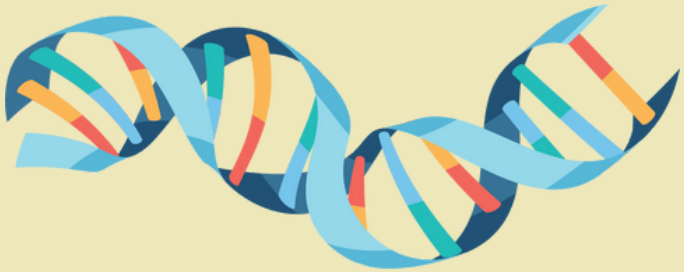
Во суштина, оваа постапка е она што науката го нарекува автологна трансплантација на коскена срцевина, што значи дека донатори се самите пациенти, со дополнителен чекор на генетска интервенција при трансплантацијата.



ДАЛИ ИМА ДРУГИ ОДОБРЕНИ ТРЕТМАНИ СО ГЕНСКА ТЕРАПИЈА ЗА ТАЛАСЕМИЈА?

Во моментов, одговорните регулаторни органи во Европа и САД, од страна односно EMA и FDA соодветно, одобрија таков третман. Неговото име е Betibeglogene Autotemcel. Оваа терапија се заснова на додавање на ген, односно генетска интервенција во која една или повеќе копии од здравата верзија на генот β-глобин се вметнуваат и се припојуваат во ДНК на хематопоетските клетки на пациентот со помош на вирусен вектор, вештачка конструкција слична на вирус. Досега финансиските и корпоративните причини ја држеа терапијата настрана од европскиот пазар, додека пуштањето во САД беше одобрено и процедурите се речиси завршени за да се започне со нејзина примена кај пациентите во земјата.

Еден од третманите за модифицирање на гени кој е многу близок до одобрението од EMA и FDA и се нарекува exa-cel. Третманот покажа многу ветувачки резултати во клиничките испитувања и може да стане достапен и за српеста анемија.



ШТО СО ДРУГИТЕ ТРЕТМАНИ СО ГЕНСКА ТЕРАПИЈА?

Постојат неколку други третмани во развој, повеќето од нив се засноваат на генско модифицирање, генетска интервенција во која целните области на ДНК се модифицираат со употреба на ензимски технологии, како што е CRISPR-Cas9.

Модифицирањето може повторно да го активира производството на феталниот хемоглобин (HbF), ако е на соодветни нивоа, поради недостаток на „хемоглобин кај возрасни“ во животот по раѓањето. Други пристапи вклучуваат модифицирање на вистинските генетски дефекти кои предизвикуваат таласемија и се предизвик, бидејќи има многу такви дефекти на кои им е потребно повеќе време за да дадат безбедни и ефективни резултати.