

CO VŠE SE UKRÝVÁ POD POJMEM ATMP (ADVANCED THERAPY MEDICINAL PRODUCTS)

Regina Demlová^{1,2}

¹Farmakologický ústav LF MU, Brno

²Masarykův onkologický ústav, Brno

Vědecký pokrok v oblasti buněčné a molekulární biotechnologie vedl k rozvoji moderních terapií, jako jsou genové terapie, somatobuněčné terapie a tkáňové inženýrství. Toto nově vznikající a dynamicky se rozvíjející odvětví biomedicíny přispívá a bude přispívat k novým možnostem léčby řady onemocnění, samozřejmě až po jejich systematickém zhodnocení cestou klinických studií a schválení v souladu s platnými evropskými i národními legislativními požadavky. Léčivými přípravky pro moderní terapie rozumíme LP pro genovou terapii, LP pro somatobuněčnou terapii nebo přípravky genetického inženýrství.

Léčivé přípravky pro genovou terapii jsou biologické léčivé přípravky s léčivou látkou, jež obsahuje rekombinantní nukleovou kyselinu a jsou používány nebo podávány lidem k regulaci, opravě, výměně, doplnění nebo odstranění genetické sekvence, přičemž léčebný, preventivní nebo diagnostický účinek těchto léčivých přípravků se vztahuje přímo na sekvenci rekombinantní nukleové kyseliny nebo na produkt genetické exprese této sekvence.

Léčivé přípravky pro somato-buněčnou terapii jsou pak humánní léčivé přípravky, využívající somatické živé buňky, jejichž biologické vlastnosti byly významně změněny v důsledku manipulace za účelem docílit terapeutického, diagnostického nebo preventivního účinku metabolickou, farmakologickou a imunologickou cestou. Podstatné je, že u těchto léčivých přípravků došlo v důsledku zásadní manipulace ke změně jejich fyziologických funkcí, biologických nebo strukturálních vlastností významných pro zamýšlené klinické použití, nebo které nejsou určeny k použití u příjemce ve stejné základní funkci jako u dárce.

Přípravky tkáňového inženýrství obsahují upravené buňky nebo tkáně (tj. podstatně manipulované nebo v heterologním použití – obdobně jako u somatobuněčné terapie), na rozdíl od nich však slouží k obnově, opravě nebo nahrazení lidských tkání. Rozdíl oproti LP pro somatobuněčnou terapii je tedy v tom, že vlastní účinek není farmakologický, nýbrž se jedná o náhradu či obnovu lidských tkání.

Léčivé přípravky pro moderní terapii by měly podléhat stejným regulačním zásadám jako jiné druh biotechnologických léčivých přípravků. V současné době lze legálně využít LP pro moderní terapii pouze jako hodnocený léčivý přípravek

v klinickém hodnocení, specifickém léčebném programu, ovšem pouze pokud je ověřena bezpečnost a účinnost (v KH) nebo jako registrovaný LP za podmínek registrace centralizovanou procedurou.