

Pytania do prof. dr hab. Jacka Jaworskiego

1 Czy i czym różnią się badania z rapamycyną dzieci i dorosłych ludzi?

JJ: Przede wszystkim dziękuję za pytanie. Może zanim na nie odpowiem, podkreślę, iż nie jestem lekarzem, a w związku z tym moja odpowiedź może nie powinna być traktowana jako rodzaj zaleceń co do sposobu podawania rapamycyny ludziom. Podstawową różnicą w podawaniu rapamycyny jako leku dzieciom i osobom dorosłym jest to, iż w przypadku tych pierwszych podanie rapamycyny może być rozważane tylko jeśli są dostępne są dane jej użycia u dorosłych albo w przypadku jeśli choroba dotyczy jedynie dzieci. W przypadku badań klinicznych poprzedzających powszechne stosowanie danego leku u dzieci musi ono być zaprojektowane tak aby uwzględnić przedziały wiekowe gdyż dzieci w różnym wieku mogą znacząco się różnić od siebie odpowiedzią. Np. przedziały u dzieci są następujące: noworodki, wcześniaki, niemowlęta do 1 miesiąca życia, małe dzieci, dzieci starsze, młodzież. Jeśli chodzi o dawkowanie rapamycyny u dzieci i dorosłych to wg. tego czego dowiedziałem się od klinicystów, dawkę ustala się na podstawie uzyskania efektywnego stężenia leku we krwi czyli około 4 a 10 ng/ml. Bezpieczeństwo użycia rapamycyny u dorosłych i u dzieci z tego co obecnie wiadomo jest podobne i nie ma formalnie dolnej granicy. Warto jednak podkreślić, iż przynajmniej w przypadku leczenia padaczki (np. w stwardnieniu guzowatym) rapamycyna zawsze jest stosowana wspomagająco do głównego leczenia (np. wigabatryną czy operacyjnego). Z tego co mi wiadomo obecnie są rozważane badania kliniczne z prewencyjnego stosowania rapamycyny w TSC, co oznacza podanie leku przed wystąpieniem wyraźnych objawów klinicznych (napadów drgawkowych). Jednak wg. mojej wiedzy takie badania kliniczne jeszcze nie są ani zarejestrowane ani tym bardziej prowadzone nie tylko w Polsce ale również w reszcie UE czy np. w USA. Jeśli chodzi o porównanie stosowania skuteczności rapamycyny u dzieci i dorosłych tu jest bardzo mało danych. W przypadku TSC wydaje się, że jej stosowanie wspomagające leczenie padaczki u dzieci może być nieco efektywniejsze. Natomiast w przypadku leczenia guzów mózgu SEGA jest bardzo podobne.