

# **Uniwersyteckie Centrum Kliniczne WUM-CSK przy ul. Banacha to kolejny ośrodek w Polsce gotowy do leczenia terapią CAR-T u dorosłych pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek B (B-ALL) i chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B (DLBCL)**

Kwi 06, 2021

- **Klinika Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych UCK WUM uzyskała certyfikację do stosowania genetycznie modyfikowanych limfocytów CAR-T firmy Novartis<sup>1</sup> u pacjentów dorosłych do 25. roku życia wyłącznie we wskazaniu ostro białaczka limfoblastyczna z komórek B (B-ALL) oraz u pacjentów dorosłych we wskazaniu chłoniak rozlany z dużych komórek B (DLBCL).**
- **Tym samym już 4 ośrodki w Polsce uzyskały certyfikację Novartis do stosowania terapii CAR-T (tisagenlecleucel)<sup>1,2</sup>.**
- **Terapia CAR-T to nadzieja dla pacjentów zmagających się z opornymi na leczenie lub nawrotowymi postaciami B-ALL i DLBCL<sup>3</sup>.**

**Warszawa, 6 kwietnia 2021 r.** – Uniwersyteckie Centrum Kliniczne Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego – Klinika Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych w Warszawie ukończyła techniczny, jakościowy i edukacyjny program wymagany przez Europejską Agencję Leków (EMA) do podawania terapii CAR-T firmy Novartis (tisagenlecleucel)<sup>4</sup>. Tym samym przeszła proces kwalifikacji potwierdzający gotowość ośrodka do stosowania tej formy terapii. CAR-T to metoda leczenia, która po jednorazowym podaniu może przynieść wieloletni efekt. To fundamentalna zmiana w sposobie leczenia, ale także ewolucja paradygmatu dla systemów opieki zdrowotnej i ekspertów zajmujących się kwestią finansowania terapii.

Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Warszawie jest kolejną placówką w Polsce certyfikowaną do stosowania terapii CAR-T firmy Novartis u dorosłych pacjentów obok Oddziału Hematologii i Transplantacji Szpiku Szpitala Klinicznego Przemienienia Pańskiego UM w Poznaniu i Kliniki Transplantacji Szpiku i Onkohematologii, Narodowego Instytutu Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowego Instytutu Badawczego, z oddziałem w Gliwicach, oraz Kliniki Transplantacji Szpiku, Onkologii i Hematologii Dziecięcej „Przylądek Nadziei” Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego we Wrocławiu, certyfikowanej do stosowania terapii CAR-T u pediatrycznych pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek B.<sup>5</sup> Aktualnie żadna zarejestrowana w Europie terapia CAR-T nie jest w Polsce refundowana.

CAR-T to przygotowywana indywidualnie, jednorazowa terapia genowo-komórkowa, która do walki z nowotworem wykorzystuje układ odpornościowy pacjenta. Ze względu na restrykcyjne procedury

przygotowania oraz podania terapii, do jej stosowania wymagana jest odpowiednia infrastruktura ośrodka i przeszkolenie kadry specjalistów. Zakończony proces certyfikacji potwierdza pełną gotowość ośrodka do stosowania terapii CAR-T u pacjentów zakwalifikowanych do leczenia.

– W Uniwersyteckim Centrum Klinicznym pracuje wykwalifikowana grupa specjalistów, dzięki której możemy leczyć najnowszymi terapiami dostępnymi na świecie. Bez wątplenia nasz ośrodek spełnia najwyższe standardy umożliwiające wdrażanie nowatorskich procedur takich jak CAR-T. Terapia CAR-T jest jednym z największych odkryć w onkologii ostatnich lat. To niewątpliwie jeden z najbardziej innowacyjnych i obiecujących kierunków w medycynie. Jestem przekonany, że współpraca między ośrodkami akademickimi a firmami farmaceutycznymi jest możliwa i potrzebna. Metoda CAR-T jest aktualnie badana w wielu wskazaniach, wspólne wysiłki to szansa dla pacjentów na zwiększenie dostępu do przełomowego leczenia i wzbogacanie naukowych dowodów efektywności. Dzięki terapiom CAR-T aktualnie zarejestrowanym w Europie, już można leczyć pacjentów z białaczkami i chłoniakami, i cieszę się, że w Polsce mamy już pierwsze doświadczenia w tym zakresie. Większość pacjentów chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną i chłoniaka rozlanego z dużych komórek B dobrze odpowiada na leczenie konwencjonalne, jednakże u części chorych wykazujących cechy złego rokowania, wznowy następują szybko. Dla wielu takich osób nie mamy w tym momencie żadnych rozwiązań terapeutycznych, które dawałyby szansę na wyleczenie. Terapia CAR-T daje tym chorym nadzieję na życie, dlatego bardzo się cieszę, że nasza klinika dołączyła do grona ośrodków kwalifikowanych do leczenia w już zarejestrowanych wskazaniach - wyjaśnia prof. dr hab. n. med. Grzegorz W. Basak, Kierownik Kliniki Hematologii, Transplantologii i Chorób Wewnętrznych Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego Uniwersytetu Medycznego w Warszawie.

Zgodnie z rejestracją EMA terapia CAR-T tisagenlecleucel może być stosowana w terapii nawrotowych lub opornych na leczenie: ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek B (B-ALL) u dzieci oraz osób dorosłych do 25. roku życia włącznie oraz chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (DLBCL) u osób dorosłych.<sup>6</sup>

– Terapia CAR-T otworzyła nowe możliwości w leczeniu części pacjentów z ALL i DLBCL, którzy wyczerpali inne opcje terapeutyczne. Ta innowacyjna metoda o udowodnionej, wysokiej skuteczności klinicznej, działa na pograniczu terapii genowej, komórkowej oraz immunoterapii, skutecznie „uzbrajając” limfocyty T pacjenta, by mogły one wykrywać i niszczyć komórki nowotworowe bardziej skutecznie. Terapia CAR-T w aktualnie zarejestrowanych wskazaniach stanowi leczenie ostatniej szansy w leczeniu agresywnych, śmiertelnych nowotworów. Proces refundacyjny tej terapii jest w toku, jesteśmy gotowi do rozmów z Ministerstwem Zdrowia, by zapewnić dostęp do tego przełomowego leczenia. Jednocześnie, oczekując na kolejne etapy tego procesu refundacyjnego, zwiększamy sukcesywnie liczbę ośrodków kwalifikowanych do stosowania leczenia na mapie Polski, by zmniejszać bariery logistyczne zarówno dla pacjentów, jak i te związane z samą produkcją leku, która znacząco różni się od produkcji terapii np. w postaci tabletek – mówi dr n. med. Adam Goszczyński, Dyrektor Medyczny Novartis Oncology w Polsce.

## Jak działa terapia CAR-T?

Jak w praktyce działa mechanizm terapii CAR-T? W specjalistycznym procesie separacji składników krwi (leukaferaza) izolowane są z niej leukocyty, w tym limfocyty T. Następnie są one przekazywane do laboratorium w celu modyfikacji. Przy pomocy wektora wirusowego limfocyty T zostają genetycznie zaprogramowane tak, aby rozpoznawały komórki nowotworu. Następnie nowo utworzone komórki CAR-T ulegają namnażaniu i trafiają z powrotem do krwi pacjenta. Tak zaprogramowane komórki CAR-T są w stanie rozpoznać komórki nowotworowe, przyłączyć się do nich i aktywnie je zniszczyć.

## Ostra białaczka limfoblastyczna (ALL)

Ostra białaczka limfoblastyczna to jeden z najczęściej występujących nowotworów i jednocześnie najczęstsza z białaczek dotycząca pacjentów pediatrycznych. ALL to nowotwór limfocytów, czyli białych krwinek zaangażowanych w funkcjonowanie systemu odpornościowego organizmu. Choroba postępuje szybko i wymaga wdrożenia natychmiastowego leczenia. U części pacjentów ALL nawraca lub jest oporna na leczenie, pomimo stosowania leczenia systemowego, jak chemioterapia, terapia celowana czy przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych.<sup>7</sup>

## **Chłoniak rozlany z dużych komórek B (DLBCL)**

Chłoniaki rozlane z dużych komórek B są najczęściej występującą grupą chłoniaków spośród wszystkich nowotworów układu chłonnego (ok. 35%), w tym chłoniaków agresywnych (ok. 80%).<sup>8</sup> Około 10% pacjentów z chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B (DLBCL) ma oporną postać choroby. W ciągu ostatniej dekady poczyniono znaczne postępy w zrozumieniu patogenezy tej choroby, nadzieją dla części chorych jest immunoterapia z zastosowaniem CAR-T cells.<sup>9</sup>

## **O CAR-T**

W zindywidualizowanej terapii CAR-T, do walki z niektórymi rodzajami nowotworów wykorzystuje się układ odpornościowy pacjenta. Limfocyty T pacjenta są pobierane i poddawane modyfikacjom poza organizmem, dzięki czemu są w stanie rozpoznać komórki nowotworowe i inne komórki z ekspresją określonego antygenu oraz z nimi walczyć. Przez dziesięciolecia badacze poszukiwali różnych sposobów wykorzystania ludzkiego układu odpornościowego do walki z nowotworami. Dzięki innowacyjności i wytrwałości odkryto autologiczne terapie CAR-T. W przeciwieństwie do typowych produktów małowzrostkowych lub leków biologicznych autologiczne terapie CAR-T są dostosowane do indywidualnych potrzeb danego pacjenta. W związku z tym konieczna jest zmiana podejścia do produkcji, logistyki i administracji.

---

## **Informacje o firmie Novartis**

Novartis zmienia oblicze medycyny, aby poprawić i przedłużyć życie ludzi. Jako wiodąca światowa firma farmaceutyczna, wykorzystujemy nowoczesne technologie naukowe i cyfrowe, by dostarczać innowacyjne terapie odpowiadające na znaczące potrzeby medyczne. Nasza misja poszukiwania nowych leków sprawia, że konsekwentnie zaliczamy się do firm przodujących pod względem inwestycji w badania i rozwój. Produkty Novartis docierają do niemal 800 milionów ludzi na całym świecie i nieustająco poszukujemy nowatorskich sposobów na rozszerzenie dostępu do naszych najnowszych terapii.

W Novartis na całym świecie pracuje około 110 000 osób ponad 140 narodowości. Dowiedz się więcej na [www.novartis.pl](http://www.novartis.pl).

## **O zobowiązaniu Novartis w zakresie onkologicznych terapii komórkowych i genowych**

Misją firmy Novartis jest zmiana obrazu medycyny poprzez oferowanie terapii komórkowych i genowych pacjentom na całym świecie. Novartis stale inwestuje w rozwój terapii CAR-T, a także ulepszenia procesów produkcji i łańcucha dostaw. Prowadząc aktywnie badania mające na celu zwiększenie znaczenia terapii komórkowej w onkologii, Novartis idzie dalej w dziedzinie nowotworów hematologicznych, docierając do pacjentów z innymi rodzajami nowotworów i oceniając terapie komórkami CAR-T nowej generacji, które koncentrują się na nowych celach i wykorzystują nowe technologie. Novartis był pierwszą firmą farmaceutyczną, która dokonała znaczących inwestycji w pionierskie badania nad CAR-T i zainicjowała globalne badania kliniczne w obszarze CAR-T. Tisagenlecleucel opracowano we współpracy z Perelman School of Medicine na Uniwersytecie Pensylwanii.

## Novartis - relacje z mediami

E-mail: [press.poland@novartis.com](mailto:press.poland@novartis.com)

**Aneta Poznanska**

Komunikacja zewnętrzna Novartis

+48 663 874 857

[aneta.poznanska@novartis.com](mailto:aneta.poznanska@novartis.com)

### Piśmiennictwo:

1. *Klinika uniwersytecka z akredytacją tisagenlecleucel*, <http://www.wum.edu.pl/node/15620>, [Dostęp: 18.03.2021]
2. *Dzień Świadomości Chłoniaków*, <https://www.isbzdrowie.pl/2020/09/dzien-swiadomosci-chloniakow/>, [Dostęp: 18.03.2021]
3. *Terapia CAR-T daje nadzieję tym, którzy nie mieli szans na skuteczne leczenie*, <https://pulsmedycyny.pl/terapia-car-t-daje-nadzieje-tym-ktorzy-nie-mieli-szans-na-skuteczne-leczenie-1102981> [Dostęp: 18.03.2021]
4. *Charakterystyka produktu leczniczego*, [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information\\_pl.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information_pl.pdf), [Dostęp: 18.03.2021]
5. *Dzień Świadomości Chłoniaków*, <https://www.isbzdrowie.pl/2020/09/dzien-swiadomosci-chloniakow/>, [Dostęp: 18.03.2021]
6. *Charakterystyka produktu leczniczego*, [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information\\_pl.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information_pl.pdf), [Dostęp: 18.03.2021]
7. *Co to jest ostra białaczka limfoblastyczna i jakie są jej przyczyny?*, <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/choroby/170547,ostra-bialaczka-limfoblastyczna-all>, [Dostęp: 18.03.2021]
8. *Chłoniak rozlany z dużych komórek B — zasady postępowania w Instytucie Hematologii i Transfuzjologii*, <https://journals.viamedica.pl/hematologia/article/view/34968/34395>, [Dostęp: 18.03.2021].
9. *Terapia CAR-T: czy pozwoli częściej wygrywać z agresywnym chłoniakiem nieziarniczym?*, <http://www.rynekzdrowia.pl/Serwis-Onkologia/Terapia-CAR-T-czy-pozwoli-czesciej-wygrywac-z-agresywnym-chloniakiem-nieziarniczym,198656,1013.html> [Dostęp: 18.03.2021].

**PL2103305512**

---

**Source URL:** <https://www.novartis.com/pl-pl/aktualnosci/media-releases/uniwersyteckie-centrum-kliniczne-wum-csk-przy-ul-banacha-kolejny-osrodek-w-polsce-gotowy-do-leczenia-terapia-car-t-u-doroslych-pacjentow-z-ostra-bialaczka-limfoblastyczna-z-komerek-b-b-all-i-chloniakiem-rozlanym-z-duzych>

### List of links present in page

1. <https://www.novartis.com/pl-pl/pl-pl/aktualnosci/media-releases/uniwersyteckie-centrum-kliniczne-wum-csk-przy-ul-banacha-kolejny-osrodek-w-polsce-gotowy-do-leczenia-terapia-car-t-u-doroslych-pacjentow-z-ostra-bialaczka-limfoblastyczna-z-komerek-b-b-all-i-chloniakiem-rozlanym-z-duzych>
2. <https://www.novartis.pl/>
3. <mailto:press.poland@novartis.com>
4. <mailto:aneta.poznanska@novartis.com>
5. <http://www.wum.edu.pl/node/15620>
6. <https://www.isbzdrowie.pl/2020/09/dzien-swiadomosci-chloniakow/>
7. <https://pulsmedycyny.pl/terapia-car-t-daje-nadzieje-tym-ktorzy-nie-mieli-szans-na-skuteczne-leczenie-1102981>

8. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information\\_pl.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information_pl.pdf)
9. <https://www.isbzdrowie.pl/2020/09/dzien-swiadomosci-chloniakow/>
10. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information\\_pl.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/kymriah-epar-product-information_pl.pdf)
11. <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/choroby/170547,ostra-bialaczka-limfoblastyczna-all>
12. <https://journals.viamedica.pl/hematologia/article/view/34968/34395>
13. <http://www.rynekzdrowia.pl/Serwis-Onkologia/Terapia-CAR-T-czy-pozwoli-czesciej-wygrywac-z-agresywnym-chloniakiem-nieziarnicznym,198656,1013.html>