

Sponzorem putká stu je vzlet.

Mátový je vždycky svutný, navzpat břízko to je nutný.

Zabíjačka.

Původní česká komická opera o třech dějstvích a dvou chodech.

6. a 7. listopadu ve vzletu.

Je čtvrtek 26. řína.

Posloucháte studio N.

Kramí vás Tomáš Lindhart.

Dnes o tom, jak nadějná léčba za miliony korun může zachránit život.

Od konce leta poutal pozornost české veřejnosti příběh dvou letého chlapce, který trpí závažnou chorobou a rodina na jeho léčbu ve sbírce schánila miliony korun.

Zbírka nakonec zopadla úspěšně.

Jak rálné, ale je, aby se takto nákladné léky dostali ke všem, kteří je potřebují?

O tom se ve studio N.

budu bavit s Ivo bezděkovou, která je redakční specialistkou na zdravotnická témata.

Ivo vítěj, ahoj.

Ahoj Tomáši.

Řekneš mi, prosím, na úvod, kdo je Martínek a jakou nemocí trpí?

Martínek je dvou letý chlapec, který trpí neurodolickým postižením, velmi vzásným, které se projevuje podobně jako některé jiné onemocnění, třeba neumí zvedat hlavečku, svalova ochablost a podobně.

Takže se to dá s nadno zaměni třeba s některým běžným onemocněním, které teď děti mají v jeho věku.

A ten problém je, že v Česku tedy tento lek, který mohl Martínek mít, tak vůbec nebyl tedy zaregistrován.

Vůbec vlastně ten výrobce nepořádal o jeho registraci, a proto ani po išťovný nemohli tento lek hradit.

K problématique těchto leků se ještě dostaneme.

Mě běžtě zajímalo ty v tom článku, který je dělat,

na titulní straně Deníku N píšeš mimo jiné,

že ta ležba přináší příběhy až podobné biblickým zázrakům.

Mohl bys příběžit, proč je ta ležba zázračná,

nebo co to je vlastně ta genová terapie a čím se odlišuje od jiných leků?

Ta genová terapie je odlišná v tom,

že je úplně na míru toho pacienta.

My známe leky typu tablety nebo infuzé,

které se dají někde skladovat,

že je na koupíví výrobce, a potom takovým,

že je na koupíví výrobce,

a potom každý ten pacient je dostané tak,

jak je na koupíví v lékárně, nebo mu je podají v nemocnici.

Ale vlastně útek genové terapie,

je potřeba, aby výrobce dostal krev toho pacienta.

Takže musí se nedřív dostavit,

nějaké nemocnice tam odeberou,
tedy tu část krve, kterou potřebují,
a pak jí transportují v tomu výrobci.
A protože to je vlastně strašně,
jednak logisticky náročné,
v tam a zpátky dávat do noučnou látku,
která jí nějakým způsobem přeprogramová.
Tak proto je to úplně něco jiného,
než když s člověk spolkné
antibiotika nebo projdehemoterapii a podobně.
V tom je to úplně revoluční,
v tom, že se manipuluje z geny,
který má každý samozřejmě jedinečné.
Mluvila si o tom, že dvou letý Martínek trpí syndromem AADC.
Pro jaké další choroby,
nebo onemocnění se,
ta genová terapie ještě může hodit?
Já bych řekla, že tady je důležité
vlastně rozdělit dva způsoby, jak funguje.
Jednak ona vlastně umí vyměnit
nebo napravit ten poškozený gen.
To je v případě Martínka,
to je v případě dalších docela známých
mediálně onemocnění,
jako je SME,
což je tedy svalová muskulární atrofie,
když tě děti podobně,
jako v případě Martínka také
ochabujím svaly,
nemůžou polikat, nemůžou postupně mluvit.
U těletě poškození genových
opraví ten gen
a vrátí ho zpátky do těla,
často krát v tom případě Martínka
nebo jiných, přímo do mozku,
že musí zase těch část,
kterou odebrali trát krev,
vrátit zpátky do toho orgánu,
který je postižený.
Potom to si septal u kterých dalších onemocnění,
potenciál zacílit mnohem více lidí,
že genová terapie umí
buňky naprogramovat tak,
a to jsou naše imunitní buňky,

té lymphocity,
naše obrany schopné buňky,
tak aby bojovali proti rakovině.
Když jsou vráceny zpátky do toho těla,
oni mají za úkol zlikvidovat
ty buňky, které tedy způsobují rakovinu.
Ivo, a dá se říct,
jaká je úspěšnost léčby genovou terapií,
protože například z dob covidu
jsme si zvyklili na informace o tom,
že existují vakcíny,
které mají například 90% úspěšnost.
Jak je to u genové terapie?
Ona je hodně mladá.
To si ještě učitě potom řekneme,
ale tady je to otázka 3 let,
kdy se používá.
Takže na nějaké vyhodnocení,
komu nepomohla je asi hodně brzo,
i když nám teda léka řekli,
když je pacientů s nádory krvé,
což je právě teda
ta oblast, kde se používá,
tak tam drtivá většina
těch pacientů, které vybrali
pro tuto letu nákladnou lečpu,
tak ta tedy
zafungovala.
I když výrobce třeba některých těch léku
uvádí 70% první porodnost,
protože strašně záleží na tom,
jestli lékaři dobře vyberou
ten typ toho pacienta
s nádorem krvé, na kterého to zafunguje.
A je potřeba říct,
že zatím
vlastně ta genová terapie
u těch onkologických onemocnění
pouze na takzvaných těch tekutých nádorů,
pohužel to zatím
tedy je ešte v dalších skoumáních
zda budeme osfungovat ešte i u jiných
nádoru typických, kterých je
mnohem víc, že.

I tak jsou to poměrně příznivá
a nadějná čísla, minimálně pro
některé pacienty dá se říct,
kolik těchto lidí
v Česku takovými chrobami trpí
nebo jak velkého množství by se potenciálně
taková léčba mohla týkat?
Ty myslíš, kolik v tuhle chvíli
tedy by mohlo mít přístup k té léčbě?
Přesně tak, v Česku.
Vlastně týká se to těch
nádorů krvé, nejvíce,
to je ta genová terapie, jak jsme říkali o tom,
že umí přeprogramovat tedy ten gen,
aby se zacílilo proti rakovinové
bunice.
A těch každý rok zhruba tak 4,5
500 nově diagnostikovaných pacientů
s nějakým typem
nádorů krvé.
Nevšichni se na to hodí, je samozřejmě
jakoby jsou přesné diagnózy
a stupení o nemocnění a tak dále
pro které se to hodí, takže kdybychom
si měli říct, u koho se to týká
v současné době, tak to jsou třeba
desítky tisíc lidí
a co se týče těch opravgenů
v tom prvním případě,
to jsou vzácná o nemocnění, to jsou
třeba desítky,
to jsou třeba desítky lidí.
A umíme genovou terapii
používat i v České republice, nebo
taková léčba zatím probíhá pouze v zahraničí?
Ano, u nás je,
jako jsem říkala, je to teda velmi čerstvé,
je vlastně pojštím,
neco zchválili zhruba
předvěme nebo třemi lety,
jsou vlastně 3 přípravky,
které se tady hradí.
Takže ano, Česků
je dostupná,

lekaři nám říkali, že
pacientů letos podávají
tuto ležbu těch,
bavíme se teda pořád
rakovině krve.
Co to hema, to on kolikická o nemocnění.
Takže těm.
A potom ještě, co se týče těch oprav genu,
to je také velice čerstva
věc, a to je právě
sválové atrofie.
A to také bylo
poměrně mediálně známe,
to byly ty případy opět dětí,
které se teda narodí vypadá
pedrové panenky a bez
ležby
soutopané na vozičku
nemůžou ani mluvit, nemůžou polikat.
A tam je velký posun, protože tam
se vlastně
poslední rok nebo dva dělá
příno screening, že miminko, když se narodí
tak můj lékaře odeberou krev azistí
v tom genu, jestli tedy
nemá tuto nemoc. A pokud ano,
tak je zavčaslé čen.
Ale opravdu vlastně ty léky, které
jsou na ty opravy genu, tak ty jsou
50 milionů korun stojí.
Ale zase vlastně ten argument je,
že pokud na investujeme
tyto peníze do toho dětského
života zavčasu, tak pak
můžeš žít plnohodnotný život.
Pokud jsem to správně pochopil,
tak ty si zmínila, že mohlo být
až tisíce pacientů, pro které by
genová terapie mohla být vhodná,
jaké procento z nich, nebo kolik z nich
už dneska v České republice
tu léčbu využívá? Je to asi
ta stovka pacientů, co se týče
třeba to onkologická

a u těch
lečby toho samotné,
teda genové poruchy,
co jsou desítky ročně odhalí.
Jak jsme si říkali, že se screeningu
u ty miminka, tak desítky z nich.
A vlastně už teďko to podle
pojšťovny dělá asi ty náklady
asi za poslední rok nějakých
600-700 milionů korun, jenom
za tyto leč, leky, takže
a vlastně ten odhat do budoucna
je, že se to bude dvojnásobovat,
že vlastně
ty tzv. indikační kritéria
a tepojšťovny, tzn. podmínky, za které
o ně budou hradit, se budou rozšiřovat, protože
se právě ukáže, že
ti lidé
byly původně tedy opravdu
odkázanej na chemoterapii,
rozloučili se s rodinou,
že končí, že prostě zbývají
partí dnou života.
To jsou právě teď třeba teď dva případy, které
jsme tam menovali a poté
co dostanou genovou terapii, tak
fungují a žijí prostě životem
jako předtím.
Já bych se ještě rád na chvíli zastavil právě u těchto
konkrétních případů, v tom tvém textu
mě zaujal příběh
teď tuším se nepletu pána z vysočiny,
kterého genová terapie
uzdravila.
Vlastně jaké jsou naděje pacientů
z genovou terapii a bez ní, když už máme nějaké
ty konkrétní příběhy,
jak výrazně tahle genová terapie dokáže
změnit nebo dokonce zachránit život?
Zase je potřeba říct, že ono to
neplatí úplně pro všechny.
Prostě to tělo je tak zvláštní.
Je tam spousta různých okolností.

Prostě v jakém tom stavu se ten daný člověk nachází. Byť už třeba v případě toho lesníka z vysočiny, což nam říkal lékař tedy z Brdenské nemocnici, který ho ošetřoval, tak tam se to povedlo a upravdu prostě ačkoliv nepomohli chemo terapie a ten člověk prakticky umíral, tak mu zabrala. Ale určitě jsou nejenom v Česku, ale prostě v Cizině spoustat dalších případů, kdy z nějakého důvodu prostě se pro ně ta leta ležba nehodila. Bud' proto, že to vlastně ten transport toho léku k tomu výrobcu třeba také nemusí někdy dopadnout. On si sice transportuje v nějakých super čistých prostorách a v logistické náročné, ale než vždycky, protože to složité je to vnohem složitější, než člověk spolkně tabletku nebo dostane infuzi, tak i todle patroly, že ti laboranti a odbodníci, kteří stou krví manipulují, tak nevždycky výde ten zorek. Takže, ano, jedna věce nastavení toho těla na tuto terapii a druhá věce i samotná vlastně jako by zvláštnost toho to léku, který teda je, jak jsme už říkali, na míru. A tím se asi dostáváme k tomu nejzásadnějšímu a tedy proč je ta leta ležba tak drahá? Mohla bys přiblížit co stojí za tou nákladností té genové terapie? My už jsme to trošku vlastně nakousli, že k tím, že jsem popsals, jak to jak to vlastně funguje. Ten člověk se musí nejdřív dostavit do nějakého specializovaného centra, tady v Česku, třeba v Praze na UHKT, v Brně

mají také hemato-onkologickou kliniku
a tam podstoupí odběr krve, ale neklasický,
vyberou vlastně sté krve
jenom tú část, vlastně
ty krvní populace, kterou potřebu proto,
aby v dní v cizině,
v třech místech v Evropě,
ve Francii, ve Švicarsku
a ještě tuším na jednom místě
v Nizozemsku.

Takže tam tedy putuje
teda přes Evropu ten
odběr toho malého, je to takový malý vak.

Teď to není klasický,
to není jako, když posíláme baríček
ani jako, když se posílají
antibiotika penicilin. To prostě
potřebuje úplně speciální
způsob, skladování
pak to dorazí na to místo,
laborantí s tím manipulují
nevždycky to víte, nevždycky se podaří
tedy, jak už jsme říkali,
také s tím nějakým způsobem
čarovat, do toho se teprve
do té odebrané krvní populace
dá ten samotný lék
ten, co vynalezli,
ten nějak reaguje
tedy s tou krví, pak se musí
zase zabalyt a putuje zpátky
k tomu pacientu.

Jednak je to logisticky náročné
jednak samozřejmě ty
pojišťovny mají, ten
výrobci mají na to patenty, takže každý
nový lék je vždycky drahý.
Formacijutické firmy jsou velmi bohaté
a oni jsou samozřejmě
v pozici, když si ten
ty investici, které do toho
dali, teď na tom samozřejmě
snaží vybrat zpátky.
Ale nám třeba říkali

lidé, kteří tomu rozumí
jsou na to odbuníci, že
pokud by se přesunula
ta část a složitá
si chci center přímo
do pražské nemocnice, tak už
by to bylo levnější a to
podstatně. A za druhé
a k tomu se možná ještě dostaneme
častokrát je to proto,
že se s těmi výrobcí třeba
nedostatečně vyjednává oceně.
V případě je Martinka, aby chom se k němu
zase zpátky vrátili,
výrobce nepořádal
uhradu tady, pokud by pořádal
jak by pojšťovny s nimi mohli jednat
takzv. risk-sharingovými
zmlubavy a dostat se třeba na
poloviční cenu. To znamená z těch
100 milionů, které se vybrali
na jeho ležbu, by se teoreticky mohli
dostat na 50. Takže i toto
je vlastně
hrozně důležitý aspekt
toho celého problému, proč je to
tak drahé? A to, že to je tak drahé
je zase potom samozřejmě
méně dostupné. A víme, jak
konkrétně nějaká takováhle ležba
genovou terapií může být drahá
kolik zhruba to může stát
a co z toho případně hradí pojšťovny?
Tak v případě toho
těch všech léků, který
jsme tady vymenovali jak teda
na to
na ta hemato-onklovická
onemocnění
tak na ty
svalové atrofie
tak v případě toho hemato-onklovického
onemocnění to asi 8 milionů korun
ale zase je zvláštní,

že třeba ty smluvy, které jsou
mezi nemocnicí a výrobcem
jsou přemětem obchodního tajemství
my nevíme za kolik skutečně to tedy
ta nemocnice nakoupila z nějakého důvodu
to nevíme, může to být teda
třeba méně.

A v případě vlastně té genové terapie
nápravi toho genu
u těch

svalové atrofie
jsou to prostě 40 milionů korun
stojí zhruba jeden ten lék
a opět

když ještě jednání by bylo
mezi tím výrobcem a tou pojšťovnou
tak tím by se dokázala třeba ta
ležba snížit.

Dobře, s tou povídání před chvílí
vrátila k tomu konkrétnému případu
toho dšletého chlapce, mě by vlastně
zajímalo, když existují
léky některé, které hradí pojšťovna
pro čvého případě
vznikla tahle ta veřejná sbírka
tuším na 100 milionů korun
když časté ležby mohou pojšťovni hradit
v rodiče toho Martinka požádali
tady pojšťovnou o
protože to samozřejmě tady není
schválený ten lék, protože
není tady dostatek pacientů na to, aby
užívali a tak dále. Takže
když není schválený
tou pojšťovnou, tak každý pacient
i třeba s roztroušenou sklerozou
nebo s onkologickým onemocněním
žádá pojšťovnou
tak zvaný paragraf 16 na výmku
říká, toto je
lék, je to jediný lék, který nám může
pomst. Bez toho to léku bude
člověk, bude to navždy mrzák
a nebo bude za dva roky mrtví.

Počte mi to uhradit, že většinou
to žádá tedy lékař.
Takhle to můjlo v případě dráv Martinka
a pojšťovná vlastně
jako by ten argument
ten argument byl, že
jak už jsme říkali, že vlastně výrobce
ani nepožádal o tuto uhradu tady.
Takže proto vlastně v tuhle chvíli
rodiče se rozhodli jít cestou
zbírky a není to z daleká
v jiný případ.
Z nějakého důvodu to třeba
pro toho výrobce může být výhodnější
což vlastně se ukázalo, že tady
ano, protože se vybralo 100 milionů
možná, by se to, pokud by se to
řešilo na základě těch risk-sharingových
mluv, tak by se dostali na nějakou
nejšší cenu, protože možná někteří
výrobci to dělají záměrně.
Abychom pořád nestavily
pojšťovnu tedy do nějakého
špatného světla, že nechtěla
uhradit ležbu.
Zbírka skončila na konci září,
vybral se do konce víc, než
100 milionů korun do té zbírky
se zapojilo přes 300 tisíc lidí.
Ví se už, jaký konkrétně dopad,
by ta ležba na něj mohla mít,
jestli skutečně, když se ty lety
peníze povedlo vybrat,
jestli se do opravdy
ten dvou lety chlapec vyléčí tohletou terapií?
Může to být úplná uzdrava.
To, co oni právě říkají,
že tam netloumíme žádné
symptomy jenom,
když se něco se tam nesimuluje,
ale přímo se napraví ten gen,
který způsobuje to,
že ten chlapeček má toto letopostížení,
tak v tom případě

je velmi často úplná uzdrava.
To dítě může být prostě
jako každé jiné.
Ivo ty už si mluvila o tom,
že na některé další choroby
by se také v budoucnu genová terapie mohla využívat,
že tedy pacientů
pravděpodobně bude více,
které tu letu ležbu využít.
A vyhlídka, že by cena
té genové terapie mohla
v budoucnu klesnout?
No, až přesně, až se
vývojářům
léků podaří
vyvinout tu genovou terapii
i na onkologické onemocnění
odznění rakovina persu,
rakovina střev
a tak dále, což teď už v tisk
studie probíhají, tak to bude
ohrovný mazec, protože
těch pacientů, my jsme mluvili o nich,
za tím trá desítky tisíc,
tak pak ich budou stovky tisíc.
A pokud to
cena teda rapidně nějakým způsobem
neklesne, tak to bude
protupu ištovnu už tedko,
jsme říkali, že to jsou
prostě 600 milionů korun
jenom na těch pádeléků, které tady jsou
proti malo pacientů,
tak už
skutečně by se to mohlo řešit nějak jinak,
když bychom si vzali kolik pacientů,
by teda bylo cílovou skupinou
způsobem.
A te ceny
jsme se vlastně trošku dotkli,
že by to mohlo jít do luta cena,
pokud jich bude víc těch pacientů,
pak ti výrobci, takhle jako s každým jiným zbožím,
pokud máš větší odbytu,

tak můžeš
tu cenu snížit. Tak ano, do Česká
posílám to, ne,
jak gestovce pacientů,
ale do desítky tisíc nebo
50 tisíc tak tu cenu můžu dát nížš.
Takže bude jako tohle déruku
ten mezi stupení
až teda budou se tím moce lečit
i pacienti trasy jeným typem onkologického robi.
Tak to bude propojššovno asi,
jak říkám, opravdu velké dilema
a velký mazec
v celém tom zdravotnictví.
Nejenom u nás, čeho.
Závěrem by mě ještě zajímalo,
jak moc je úprava genů ve zdravotnictví revoluční.
Dá se taky mluvit například
o nějakých etických aspektech
téhle léčby.
Tudle chvíli jako představa,
geny nějakým způsobem manipulovalo
a mohlo to vest
k nějakém změně celého člověka.
Tak to bych řekla,
že tímle směrem asi ne.
Spíš ten etický principy
byl práve v tom, komu to dá takomu ne.
Tak jak to už bylo ted'
v případě biologické léčby,
která je také drahá
a také směřuje jenom k některým pacientům
s rakovinou
nebo s roztrušenou sklerozou.
Tak ten etický principy mohl být tady v tom.
I když mi jeden lékař řekl,
že vlastně ti odborníci,
kteří ted' vyvíjí tedy
tu genovou terapii,
jsou v podobné situaci, jako byly
atomové fyzici na konci 2. světové války,
že oni můžou pomoct, ale můžou taky
strašně užkodit.
Takže asi ta otázka, na kterou ty se ptáš,

se budou tím
lékaři zabývat
a uvidíme, jak moc začne být
dostupná pro všechny pacienty,
kteří budou potřebovat.
Ivo, moc krát děkuju,
že si udělal čas, že si přijelá do studia N
a že jsme přiblížila, jak funguje genová terapie.
Děkuju.
Následuje krátká reklamní pauza
za par sekund jsme spátky.
A jaké správy by vás
neskane měli minout?
Zájemci o střední školy zřejmě budou
moci porad tri přihláští místo dvou.
S němovna schválila změnu pravidel
přijímacího řízení, která má
obsazování středních škol urychlit a zjednodušit.
No velu není pro jedná senát.
Podle bezpečnostní informační služby
v Českou povývala osoba, která může mít
vazby na ruskou tajnou službu GRU
a využívat novinářské krytí
učastit na mezinárodních akcích
s ruskou opozicí.
Píc na deník n.c.
Po půloroce pokračuje projednávání
případu Dominika Feryho, který čeli
obžalobě ze dvou znásilnění a pokusu o něj.
Soud dnes hlavní líčení
přerušil do 31. řína.
Rezident Petr Pavel navrhl
senátu na ústavní soudce
advokátku Lucie Dolanskou Baniájovou
a soudce nejvyššího zprávního soudu
Zdeňka Kýna.
Americká sněmovna reprezentantu
má nového precedu, tějím republikán Mike Johnson.
Křed volbou ho podpořil bývalý
prezident Donald Trump.
Na slyšenou zítra.
Koko
Brandl
Bohém

[Transcript] Studio N / Nadějná léčba může zachránit život. Za miliony korun

Národní galerie prahavá zezve
na výstavu geniálního malíře
nejlépeplaceného umělce
celoživotního dlužníka
marnutratníka, nevěrného manžela
a také vězně.
Výstava Petr Brandl
příběh Bohéma
ve Valštsenské jízdárně do 11. unora
2024