

Občas se setkávám s absurdním názorem, že farmaceutické firmy ve skutečnosti nechtějí léky, které fungují, protože by tím lidé byli vyléčeni a už by nikoho nebylo třeba léčit. Opak je ale pravdou. Účinné léky je vždycky možno vylepšovat a na tom vylepšování stojí hlavní byznys farmaceutických firem. Neúčinné léky naopak těžko mohou projít schválením regulátora a přežít v běžném používání.

V Nature jsem narazil nedávno na ilustrativní příklad. Velkým průlomem v léčbě některých typů rakoviny se v poslední době ukazuje přístup, který posiluje imunitní systém nemocného (tato myšlenka sahá až k pozorováním Dr. Coleye z konce 19. století). Výsledky jsou někdy úžasné. V jedné menší klinické studii se např. podařilo u 90% pacientů s leukemií dosáhnout naprostého vymizení nemoci.

To mezi investory do farmaceutického byznysu vyvolalo šílené nadšení. Veliká farmaceutická firma Novartis investovala do tohoto přístupu už v roce 2012. Jiné, menší, firmy, které chtějí tuto oblast rozvíjet, získaly od investorů 128 milionů USD (Kite Pharma ze Santa Moniky) a 264 milionů USD (Juno Therapeutics ze Seattlu). A to i přes to, že terapie má zatím vážné vedlejší účinky, které mohou vést až k úmrtí. Ale to je právě vhodná situace pro výzkum, který něco, co prokazatelně funguje v lidech, může vylepšovat.

Přesně tak to fungovalo např. i v případě náhodou objevených protinádorových účinků tzv. inhibitorů proteazomu (celý příběh krásně líčí prof. Godlberg v Journal of Cell Biology). V okamžiku, kdy se ukázalo, že první takový lék, bortezomib (Velcade), dokáže významně zpomalovat průběh mnohočetného myelomu, vrhly se farmaceutické firmy do hledání jiných, lepších inhibitorů proteazomu. Jako příklad lze uvést firmu Proteolix, která vyvinula lék carfilzomib (Kyprolis) a kterou její zakladatelé a investoři prodali v roce 2009 za 810 milionů USD.

V dnešní době jsou farmaceutické firmy nicméně zahlceny obrovským množstvím dat z výzkumu na buněčných nebo zvířecích modelech, které z různých důvodů nelze uplatnit pro léčení lidí (jeden ze zakladatelů Proteolixu, profesor na Caltechu, mi sdělil, že podle jeho názoru se nemá na vývoji léků podílet akademický výzkum, neboť tomu nejde o uplatnění poznatků v praxi, ale jen o publikační výstupy). Překvapivě často se nedaří publikované vědecké práce ani zopakovat. A jsou to právě farmaceutické firmy, kdo začal bít na poplach proti sebeuspokojivému produkování výzkumu, který nelze uplatnit. Ony prostě potřebují něco, co funguje.

Asi nejznámějším případem je zpráva farmaceutické firmy Bayern Pharmaceuticals, publikovaná v roce 2011 v Nature Reviews Drug Discovery, podle níž je pouze 25% z 67 testovaných vědeckých publikací zopakovatelných (podle americké firmy Amgen je to jen 11%). Přitom to, že něco je zopakovatelné, ještě neznamená, že je to užitečné a že to může sloužit v klinické léčbě nemocných, je to jen první předpoklad pro to, aby bylo možno brát výsledky dané publikace vědecky vážně. Proto by také bylo správné, aby výsledky biomedicínského výzkumu, které ještě nejsou klinicky testovány, byly ve veřejném prostoru ignorovány. Nemají žádnou vypovídací hodnotu, i když jejich tvůrci by často byli rádi, aby budily pocit užitečného, senzačního objevu.

Se selháváním výzkumu souvisí také vysoká cena léků. Typickým příkladem je onkologie. Pokud byste měli lék, který jasně léčí a nikoli jen prodlužuje život, nemusíte dělat rozsáhlé a velmi nákladné klinické testy, které jsou nutné v případě, že váš nový lék, pro nějž chcete získat povolení od regulátora, je oproti běžné terapii lepší jen natolik, že prodlužuje život o několik měsíců. Jasně prokázání malého efektu vyžaduje rozsáhlé soubory dat. Je naprosto logickým zájmem farmaceutických firem, aby do klinických testů naopak musely investovat co nejméně.

- See more at: <http://www.blisty.cz/art/84640.html#sthash.78hjwtIQP.NniYEzq4.dpuf>