

OLLI CARPEN

Professori

Auria-biopankki, Turun yliopisto ja TYKS-SAPA-liikelaitos



©ISTOCKMALERAPAO

BIOPANKIT lääkekehityksen apuvälineenä

Biopankkiverkosto tarjoaa lääkekehitykseen uudentyyppisiä tapoja yhdistää potilasnäytteistä sekä diagnostiikasta ja hoitotuloksista saatavaa tietoa. Lääkeyritysten ja biopankkien yhteistyön päämäärä on, että lääketieteen innovaatiot siirtyvät käytännön potilastyöhön yksilöllisempänä ja entistä vaikuttavampana terveydenhoitona.

Uusi biopankkilaki astui maassamme voimaan viime vuonna, ja biopankkitoimintaa käynnistetään useissa sairaaloissa. Mihin biopankkeja tarvitaan, ketkä toiminnasta hyötyvät ja miten ne voivat edistää erityisesti lääkekehitystä?

Täsmälääkkeiden esiinmarssi

Terveydenhuolto on suurten muutosten kynnyksellä. Uudet tutkimusmenetelmät ja -tulokset kartuttavat ymmärrystämme sairauksien kirjosta, syntymekanismeista sekä perimän osuudesta tautien syntyyn ja kulkuun, lääkkei-

den tehoon ja haittavaikutuksiin. Neljänneksen ihmisen noin 20 000 geenistä tiedetään liittyvän sairauksiin suoraan erilaisten mutaatioiden seurauksena, mutta perimän ja sairauksien yhteys lienee paljon monimuotoisempi.

Molekyylitason mekanismien selvittäessä sairaudet ja kautuvat yhä tarkempiin alaryhmiin, joiden diagnostiikka perustuu perinteisten laboratorio- ja kuvantamistutkimusten ja kudosanalyysien lisäksi entistä tarkempiin tautiprosessien analyysiin. Sairauksien molekyylitason kartoituksen eturintamassa ovat useat syöpätaudit, joita hoidetaan täsmädiagnostiikan ohjaamana.

Mikä biopankki on?

Biopankilla tarkoitetaan ihmisperäisten näytteiden (esim. verinäytteitä, kudosplokkeja, eristettyä DNA:ta) kokoelmaa, jollaisia on kerätty vuosikymmenten saatossa niin diagnostiisiin kuin tutkimustarkoituksiin. Kuitenkin vasta viimeaikaiset teknologiset edistysaskeleet ovat mahdollistaneet kokoelmien monipuolisen hyödyntämisen.

Uusien toimintatapojen ja lainsäädännön myötä sekä diagnostiikkaa varten kerätyt kudosplokkien näytteet että sairaaloihin hoitoon tulevien potilaiden näytteet saadaan entistä paremmin palvelemaan lääketieteellistä tutkimusta, diagnostiikkaa ja hoitoa.

Lääkekehitys on vuosikymmenien ajan perustunut kemiallisten yhdisteiden vaikutusten testaamiseen sairauksien koemalleissa. Viime aikoina lääkeaihioiden pohjana on ollut enenevässä määrin sairausmekanismien ja lääkkeellisten vaikutuskohteiden tunnistaminen ja sen seurauksena täsmälääkkeiden esiinmarssi.

Biopankeista apua lääkekehitykseen

Kehityksestä huolimatta lääkekehitykseen liittyy useita ongelmia, ja vain harva lääkeaiho jalostuu tuotteeksi. Merkittävänä pullonkaulana on edelleen sairauksien monimuotoisuutta koskevan tiedon rajallisuus, sillä tietoa tarvittaisiin kliinisten lääketutkimusten rationaaliseen suunnitteluun. Sitä ei kuitenkaan saada koeputkista eikä eläinkokeista, vaan tarvitsemme uudentyypisiä tapoja yhdistää potilasnäytteistä sekä diagnostiikasta ja hoitotuloksista saatavaa tietoa. Tässä perustutkimuksen ja potilashoidon yhdistämisessä sairaalabiopankeilla ja niiden yhteydessä kerättävän kliinisen tiedon varastolla on tärkeä tehtävä.

Myös lääketeollisuus etsii uusia muotoja toimintansa kehittämiseksi. Sairauksien ilmiäisyä ja diagnostisten alaryhmien ymmärtäminen (deep phenotyping) sekä lääkkeiden tehoon ja haittavaikutuksiin liittyvän tiedon saaminen käytännön potilastyöstä (real-life data) ovat asioita, joita lääketeollisuus tarvitsee parantaakseen innovaatioketjuun ja tuottaakseen yhä parempia täsmälääkkeitä sekä entistä tehokkaampia lääkeyhdistelmiä. Tässä lääketeollisuuden luonteva yhteiskumppani voi olla julkisella rahoituksella toimiva ja julkiseen terveydenhuoltoon perustuva biopankkiverkosto. Julkisten ja yksityisten toimijoiden uudenlaista yhteistyötä ollaankin käynnistämässä niin Suomessa kuin maailmalla.

Suomi on houkutteleva biopankkimaa

Mikä tekee Suomesta houkuttelevan biopankkimaan? Syy on yksinkertainen: meillä on erityisiä vahvuuksia, joiden avulla voimme olla alan eturintamassa. Näistä tärkeimpiä ovat kattava ja korkealaatuinen julkinen sairaanhoito sekä lääketieteellinen tutkimus.

Biopankkinäytteiden arvo korostuu silloin, kun näytteisiin voidaan liittää sairaustietoa. Tällaisen tiedon laajamittainen yhdistäminen ei ole yksinkertaista, sillä siihen tarvitaan sähköisiä näyte- ja potilastiedon järjestelmiä, jotka Suomessa ovat moniin muihin maihin verrattuna varsin kehittyneitä. Lisäetua tarjoavat useat kansalliset rekisterit.

Kaikkein tärkein vahvuus on kuitenkin suomalaisten myönteisyys lääketieteelliselle tutkimukselle. Kokemus-

temme mukaan yli 90 % suomalaisista antaa suostumuksensa näytteiden tutkimuskäyttöön – tällaisiin lukuihin tuskin päästään missään muussa maassa.

Biopankkilakia valmisteltaessa huomioitiin näytteiden käyttö sekä diagnostiikan että lääkekehityksen tarpeisiin. Lain peruseriaatteet, mukaan lukien toiminnan ammattimaisuus ja vapaaehtoisuuteen ja tietoiseen suostumuksen perustuva näytekeraus ovat asioita, joita myös lääketeollisuus yhteistyöltä edellyttää. Samoin velvoite näytteistä tehtyjen määritysten palautumisesta biopankkiin näyttää olevan myös yksityisten toimijoiden hyväksyttävissä. Kaikki näytteisiin liittyvä tieto annetaan luonnollisesti tutkimusprojekteihin siten, ettei sitä voida yhdistää yksittäiseen luovuttajaan.

Kohti uuden tiedon viitoittamaa lääketiedettä

Mitä hyötyä biopankkien ja lääkeyritysten yhteistyöstä voi olla? Uudentyypinen läpinäkyvä ja eettisesti kestävällä pohjalla oleva yhteistyö sairaaloiden, yliopistojen ja yritysten välillä edistää uusien lääkkeiden tai diagnostiikkamenetelmien kehittämistä sekä uusien käyttöaiheiden löytämistä nykyisille lääkkeille.

Täsmälääkkeiden käyttöön tarvittava diagnostiikka (companion diagnostics) edellyttää näytteitä ja niihin liittyvää tietoa, joita biopankit voivat tarjota. Kliinisten kokeiden rationaalinen suunnittelu helpottuu, kun kohderyhmäksi voidaan valikoida lääkityksestä todennäköisimmin hyötyvät potilaat. Samanaikaisesti madaltuu kynnys siirtyä nykyisestä laajoihin kliinisiin testeihin ja pitkälliseen seurantaan perustuvista hoitosuosituksista (evidence based medicine) kohti dynaamisempaa uuden tiedon viitoittamaa lääketiedettä (data driven medicine).

Vaikka uudenlaisten yhteistyökuvioiden hyödyt jakautuvat monille tahoille, päämäärä on kirkas. Biopankkiyhteistyön lopputuloksena tulee olla lääketieteen innovaatioiden siirtyminen käytännön potilastyöhön yksilöllisempänä ja entistä vaikuttavampana terveydenhoitona. ■

Sosiaali- ja terveysalan lupa- ja valvontaviraston Valviran tehtävänä on ohjata ja valvoa biopankki-toimintaa sekä ylläpitää valtakunnallista biopankkirekisteriä.

Lue lisää: www.valvira.fi/luvut/biopankit