

הכנס הרפואי השני בנושא סרטן בילדות

מגנים עד טיפול ממוקד

עמותת גדולים מהחיים קיימה השבוע, כנס בהשתתפות מומחים מהשורה הראשונה – המובילים את המערך ההמטולוגי-אונקולוגי בארץ ובעולם. מעל 100 רופאים, מתמחים, מתאמי מחקר, גנטיקאים, חוקרים, אנשי מעבדה ואחיות ממרכזים רפואיים בישראל, בארצות הברית, קנדה ואירופה הגיעו לכנס ראשון מסוגו בארץ, שמתקיים זו השנה השנייה.

בראש הכנס עמדו **פרופ' עמוס תורן** – מנהלת המערך ההמטו-אונקולוגי בית החולים 'ספרא' – 'תל-השומר', **פרופ' שי יזרעאלי** – מנהל המערך ההמטולוגי-אונקולוגי במרכז 'שניידר' ו**ד"ר אלעד יעקבי** – מנהל המרכז לאימונותרפיה וטיפול תאי בילדים – בבית החולים 'תל השומר'.

הכנס עסק בגנטיקה של ממאירות בילדים ובאופן הטיפול הממוקד עם דגש על אימונולוגיה ורפוי חדשני באמצעות תאי CAR-T.

במסגרת הכנס הציגו נציגי בתי חולים שונים בישראל, מקרי בוחן של מטופלים – ילדים ומבוגרים, המטרה הייתה לשלב את הזווית המדעית והרפואית, באמצעות שיח המתייחס לאבחון, האתגרים, אופן הטיפול והחשיבות של יצירת שיתופי פעולה בארץ ובחו"ל.

"בנוסף לנוכחות שיא בכנס ויצירת שיח חשוב בקרב הקהילה המדעית - הבינלאומית והארצית, ניתנה כאן דוגמא לתחום בו אנו חייבים לעבוד כיחידה אחת, בנושא שמציב בפנינו אתגרים אבחנתיים, רגולטורים, משפטיים ואתיים." מסביר פרופ יזרעאלי.

את הכנס פתח **מר ליאור שמואלי** – מנכ"ל עמותת 'גדולים מהחיים' שהציג את הפעילות הרחבה שמקדמת העמותה, את חשיבות התמיכה בבתי החולים, רופאים ומתאמות המחקר והתייחס לקידום 'גן החלומות' – המרכז החינוכי הראשון בישראל לילדים המחלימים מסרטן באזורים נוספים למרכז – בצפון ובדרום המדינה".

גב' גולי קשת יו"ר הועד המנהל, מספרת איך נולד הרעיון לכנס: "העמותה פועלת בשלושה מישורים: בריאות – תמיכה כלכלית ורפואית כולל תקצוב תרופות אשר לא נכנסו לסל הבריאות, מימון טיסות לחו"ל וכדומה.

שמחה – קיום אירועים לילדים ובני משפחותיהם, כגון: הפנינג, נופש לאבות או לאמהות, טיולים ונופשים בארץ ובעולם ופעילותיו מעצימות נוספות.

תקווה – שינוי מדיניות ארצית כמו: חוק ביטוח לאומי, הכרה ממסדית בגן החלומות, משדרי תרומה, הופעות בכנסת וקידום נושאים העוסקים במחלת הסרטן.

פעילות זו האירה לנו את הצורך לחזק את הקשר עם קהילת הרופאים ובחיזוק מערכת התמיכה במחקר ובתי חולים, דבר לו אנו מקצים 10% מהתקציב השנתי שלנו. כל בית חולים מדרג את הצורך הכי שלו לטובת המשפחות ולטובת התחום לדוגמא: התקנת תקרה אקטיבית לחדר הבדיקות כדי להקל על ילדים קטנים שצריכים לעיתים לשכב או לשבת זמן ממושך. כורסאות להורים. פעם גם תמכנו במשך שלוש שנים במתמחה אונקולוגי מהמגזר הבדואי לבקשת בית החולים, במטרה לתת מענה למגזר הנ"ל.

חשוב לנו להתעדכן ולהיות שותפים גם בנושא המחקרים בינלאומיים, המאפשרים גם לילדים שלנו להתקבל לניסויים ותכניות, בבתי חולים בארה"ב בגרמניה בקנדה .

מתוך כל האמור – חרטנו על דגלנו את חיזוק הקשר עם בתי החולים ועם ארגונים בינלאומיים. אחד הביטויים לכך הוא הכנס השנתי, שמתקיים בפעם השנייה ועוזר לייצר דיאלוג בינלאומי ושיתוף לרווחת הילדים של גדולים מהחיים והקהילה הרפואית.

החזון שלנו: לעזור ולתת תקווה לכל משפחות הילדים שחולים בסרטן מרגע הגילוי ועד שנתיים אחרי – ברגע שילד יזכה בתרופה מחוץ לסל בזכות הכנס קנינו עולם ומלואו. חיזוק והעמקת הקשר המקצועי עם בתי חולים בארץ והעולם, יעזור בהווה ובטח בעתיד לכל נושא הסרטן בישראל ובעולם.

חלק ראשון – נטייה לממאירות בילדים

החלק הראשון של הכנס, עסק בנטייה לממאירות בילדים והקשר ההולך ומתחזק בין גנטיקה לסרטן בגיל זה. שלושת המרצים הציגו אספקטים שונים של סרטן גנטי – תוך התייחסות לזווית המדעית בשילוב פרקטיקה.

מבוא

" מאז ומעולם היה ידוע כי מחלת הסרטן אצל ילדים, אינה תורשתית. בשנים האחרונות אנו למדים כי לגנטיקה יש תפקיד משמעותי גם בתחום הזה." מסביר פרופ' יזרעאלי שפתח את החלק המקצועי של הכנס ומוסיף: "מחקרים מודרניים מגלים כי עד 15% מהגידולים הממאירים אצל ילדים קשורים לנטייה לתסמונת תורשתית. התחום נמצא בחיתוליו ומכאן עולות השאלות: איך לאבחן, מה המשמעות של כל אבחנה, במידה ואנו משתילים מח עצם מבן משפחה של המטופל – מה נעשה במידה וגם הוא נושא את הגן, איזה מעקב דרוש לילד הנושא גן מסוים ועקב כך יש לו סיכוי גדול יותר לפתח סרטן, כאשר גילינו את הגן - האם אכן מדובר במעקב הרבה יותר אגרסיבי?"

ד"ר יעקבי ממשיך: " אפשר לסקור את כל הגנום האנושי ולקבל תמונה מלאה על כל אחד מאתנו. לצד היתרונות של הגילוי המוקדם, עלול להיווצר מצב בו ישנם אבחנות שנראות חשודות ולנו אין מושג מה המשמעות שלהן מבחינה רפואית, רגולטורית, אבחנתית ואיתית. כיצד אנו אמורים להתנהל אל מול המשפחה, כאשר ישנם ממצאים חשודים המתייחסים לאבחון הגנטי. האם למסור להם את כל המידע, גם כאשר אנחנו לא מבינים את המשמעות שלו? כיצד ניצור מודעות שמובילה למעקב ריאלי ונכון?"

הרצאה ראשונה - תסמונת לי-פראומני: איתור ומניעת סרטן בעידן הרפואה המדויקת

David Malkin, The Hospital for Sick Children, Toronto, ON, Canada

Li-Fraumeni Syndrome: Cancer Detection and Prevention in the Age of Precision
Medicine

ד"ר דיוויד מלקין - אבי תחום הנטייה התורשתית לסרטן בילדים, הדגיש שוב את הקשר בין גנטיקה לסרטן ואת העובדה שמדובר בפריצת דרך של השנים האחרונות. לפי הנתונים שבידיו - אצל עד כ- 15% מכל הילדים שחלו בסרטן - גילו קשר לגנטיקה ותורשה.

במסגרת ההרצאה, הרחיב ד"ר מלקין על תסמונת לי-פראומני (Li-Fraumeni Syndrome) - שחקרו שני החוקרים לי ופראומני. השניים גילו כי מוטציות בגן TP53 העובר בתורשה, עלולות לגרום לנשאים לחלות בסוג אחד של סרטן לפחות, במהלך חייהם. עד 40% מנשאים של הגן P53 יפתחו סרטן עד גיל 25 ועד 93% מהנשאים, יפתחו סרטן במהלך חייהם. הברור הגנטי נעשה באמצעות בדיקת דם של בן המשפחה שלקה במחלה. ישנם העורכים ברור גנטי נוסף ומקיף יותר, על ידי בדיקת פאנל גנים כללי לממאירות. אבחון של המצאות הגן יכול להשפיע על אופן הטיפול במחלה, על שכיחות וסוג בדיקות הסקר התקופתיות והמשמעות כלפי הדורות הבאים.

ד"ר מלקין הציג את האתגרים ברמת הדיוק באבחון ובמתן טיפול, כאשר מדובר בתסמונת לי-פראומני כגון: חוסר היכולת (כרגע) למנוע את התפתחות המחלה או לנבא את סוג הסרטן גם כאשר ידוע שהגן קיים, המגוון הרחב של הפנוטיפ-התכונות ב-DNA שבאות לידי ביטוי כלפי חוץ והעובדה שלא תמיד ידוע כיצד גידולי ה-LFS יגיבו לסוגים שונים של טיפולים.

ד"ר מלקין הדגיש כי אין אפשרות למנוע את הסרטן ויחד עם זאת בעזרת כלים מסוימים ניתן לקיים אבחון בגיל מוקדם וכך להגדיל את סיכויי ההישרדות. ישנם שני כלים בהם ניתן להשתמש למעקב אחרי נשאי הגן כגון: בדיקת MRI של כל הגוף ושימוש באלגוריתם, שמאפשר לנבא את הגיל בו יפתח הילד את הסרטן - ובהתאם לכך להכניסו לתכנית מעקב מתאימה. היכולת לעשות פרסונליזציה של אבחון המבוסס על גיל הנשאים - יכולה להשפיע לחיוב על אחוזי ההישרדות של המטופל.

הרצאה שנייה - זיהוי ילדים חולים עם נטייה לתסמונות סרטניות

Orli Michaeli, The Hospital for Sick Children, Toronto, ON, Canada

Identifying pediatric patients with cancer predisposition syndromes (CPS)- high grade gliomas as a prototype

ד"ר אורלי מיכאלי היא המטו-אונקולוגית ילדים משניידר המשתלמת בבית החולים לילדים בטורונטו בתחום הגנטיקה של סרטן בילדים ובגידולי מוח. ד"ר אורלי מיכאלי הציגה גידולים מסוג גליומה בדרגת ממאירות גבוהה (3 ו4) כאב טיפוס. הנתונים מראים שלפחות בקרב 9% מהילדים שפיתחו סוג זה של סרטן, הדבר נובע מתסמונת תורשתית עם מועדות לסרטן ואצל ילדים עם דרגת ממאירות נמוכה יותר, עוד פחות. עוד עולה ממחקרים שנעשו בתחום, כי ישנם גורמים רבים, בנוסף להיסטוריה המשפחתית המשפיעים על היווצרות מוטציה והתפתחות גליומה בדרגה גבוהה 3-4.

זיהוי מוקדם של CPS הוא קריטי עבור חולים ובני משפחותיהם:

- ✓ בשלבים המוקדמים ניתן לזהות גידולים טרום-סרטניים או גידולים שניתנים להסרה באמצעות הליך כירורגי.
- ✓ המידע לגבי קרובי משפחה עם פתולוגיה מורכבת, עם סוג סרטן זהה או בעלי דפוס החוזר על עצמו - חשוב לאבחון ולאופן הטיפול.
- ✓ הוכח שגילוי מוקדם משפיע על אחוזי ההישרדות אחרי הטיפול - הידע של CPS ספציפי עשוי לשנות את ניהול אופן הטיפול במחלת הסרטן ולהציע טיפול ממוקד, אשר עשוי לשפר את הישרדותם של החולים ומאפשר גילוי מוקדם של ממאירויות אחרות.

הרצאה שלישית - נטייה תורשתית לסרטן

ההרצאה התמקדה בלוקמיה ודנה בשכיחות ובספקטרום הרחב של מוטציות מורשות שלמעשה נמצאות בכל התאים – קרי ב-germline, שעלולים להגביר את הסיכון לחלות בסוג זה של סרטן. ד"ר ניקולס הסבירה גם כיצד המוטציה המורשת משפיעה על הטרנספורמציה בממאירות של הגידול ועל תוצאות המחקרים הקליניים.

מהמחקרים עולות כמה מסקנות חשובות:

- ✓ מספר הילדים הנושאים מוטציות בגנים המסכנים לסרטן גדול יותר ממה שנראה כיום
- ✓ המערך הגנטי של המטופל משפיע ומניע את הפנוטיפ
- ✓ ההיסטוריה האינדיבידואלית והמשפחתית של כל מטופל הנן בעלות משמעות רבה. דברים שנראים בעלי אפקט חזק – עלולים להיות משמעותיים פחות ולהיפך. החשש הוא שאלמנטים של היסטוריה משפחתית לא תמיד יהיו גלויים

מחקר שהציגה ד"ר ניקולס התייחס לתרומבוציטופניה (Thrombocytopenia) - מיעוט טסיות בדם והנטייה לחלות בלוקמיה. מהממצאים עולה כי מוטציה בגן ETV6 המועברת בתורשה יכולה לגרום לתופעה של תרומבוציטופניה משפחתית בכמעט כל הנשאים, וב-30% מהם ללוקמיה.

ד"ר ניקולס התייחסה גם לדבריו של ד"ר מלקין על תסמונת לי-פראוני והגן הפתוגני TP53 ולעובדה שנוכחותו של הגן אצל המטופל, קשור באופן ישיר לסיכויי הישרדות נמוכים יותר.

מה צופן העתיד? מספר כיוונים שחשוב לחקור:

- ✓ מהם הגורמים הנוספים המשפיעים על מחלת הלוקמיה כגון: הקוד הגנטי ושינויים אפיגנטיים
- ✓ מה ההשפעה של הממצאים הללו על התפתחות המחקר על מחלת הלוקמיה - מידת הפרוליפראציה, הדיפּוּרְנְצִיאצְיָה ואחוזי הישרדות
- ✓ כיצד המידע שנאסף, יכול לשפר את הטיפול הרפואי הניתן לחולה – מה תהיה השפעתו על האבחון, הפרוגנוזה והטיפול בחולים שלקו בלוקמיה. האם ניתן יהיה לשפר את אחוזי הישרדות או למנוע מנשאים לחלות במחלה.

חלק שני: הצגת מקרים מאתגרים

Case presentations of challenging cancer genetics syndromes

בחלק זה, פאנל המומחים אותגר במקרים מורכבים ממרכזים רפואיים בישראל (בלינסון, סורוקה, רמב"ם, דנה, תל השומר ושניידר), בהם עלה חשד לתסמונת תורשתית של סרטן, מתוקף היסטוריה משפחתית ופרופיל גנטי שנבדק. במסגרת זו, הוצגו דילמות רפואיות בטיפול בסרטן וניתן דגש על החשיבות של פרסום מאמרים ושיתוף אינפורמציה, במטרה ליצור בסיס נתונים רחב, גם כאשר מדוברים במקרים נדירים.

חלק שלישי: טיפול ממוקד ואימונתרפיה

היסטיוציטוזיס: מחלות MAPKinase

Jean Donadieu, Hopital Armand Trousseau, Paris, France

Histiocytosis: a MAPKinase disease

היסטיוציטוזיס (Langerhans Cell Histiocytosis) הנה מחלה מסתורית ונדירה, הנובעת מהתרבות של תאי LCH, שיוצאת משליטה. למעשה, היום המחלה מוגדרת כסוג של ממאירות, שכן נובעת מתא אחד שעבר מוטציה. אצל ילדים קטנים, במיוחד בגילאים הצעירים, המחלה בהכרח ממארת, מאוד מסוכנת ועלולה להוביל למוות.

במרבית ההחולים LCH התאים הממאירים נושאי המוטציה BRAF. מחקרים עדכניים מראים כי הגן אכן קשור להתפתחות המחלה בגילאים צעירים, שעלולה לסכן אברים בגוף ומגיבה באופן מועט לטיפול. נמצא גם כי הגן קשור ל inflammation ואינו גורם הסיכון היחיד.

בשל המוטציה ב BRAF ניתן לתת טיפול ממוקד בתרופה – זלבורף. מחקר צרפתי שנעשה בנושא, הציג תוצאות ברורות לגבי משך הטיפול התרופתי וחשיבותו. כמעט אצל כל החולים, באופן גורף וגם אחרי תקופה בה המחלה נסוגה, הפסקת השימוש בתרופה גרמה למחלה לחזור.

כיום מאפשר הטיפול במחלה 99% הישרדות ויחד עם זאת, לעיתים הוא מוגבל בשל סכנה להרעלה, חזרתן של תופעות כרוניות או חוסר השפעה על המטופל. גם כאשר הטיפול מצליח חשוב להקפיד ולתת אותו לאורך זמן, בשל החשש כי ברגע שיופסק הסימפטומים יחזרו.

ד"ר דונדיה, התייחס לטיפול הממוקד ופירט מסקנות של מחקרים עדכניים:

- ✓ טיפול ממוקד הנו בטוח ואקטיבי ברוב המקרים, גם המאתגרים של מחלת LCH
- ✓ מחזור קצר של טיפול לא ימנע את חזרתה של המחלה
- ✓ טיפול ממוקד לא יאפשר את מיגור השכפול הגנטי של BRAF
- ✓ טיפול מסוג זה אינו יעיל בקרב חולים שאצלם מדובר במחלה שניונית
- ✓ ניטור BRAF יעיל שכמדובר על נקודת קצה
- ✓ שיתופי פעולה בינלאומיים הכרחיים, במטרה להעלות מודעות ולאסוף כמות גדולה של נתונים כדי לקדם מחקר קליני מקיף בתחום

פרופ' יזרעאלי מדגיש כי LCH היא מחלה ממאירה, למרות שיש המבדילים אותה ממחלת הסרטן: "המקור למחלת הסרטן הוא תא אחד שיצא משליטה אחרי שעבר מוטציה ובעקבות כך התרבות בלתי נשלטת. היסטוזיטוזיס עונה על ההגדרה הזו ולכן, במיוחד שמדובר על ילדים קטנים, זוהי מחלה ממארת לכל דבר. במידה ולא תטופל כראוי, עלולה המחלה להתפתח מדרגה נמוכה לדרגות גבוהות יותר. קיים טיפול חדש שנוגד את המוטציה, שאינו נמצא בסל התרופות. בנוסף, המשפחות של המטופלים, לא מקבלות את התנאים המגיעים להן עבור חולה במחלה ממאירה. לגבי משך הטיפול – ניתן להמשיל את הטיפול הממוקד לתדלוק של מכונית. גם אם נפסיק לתדלק אותה והיא לא תסיע יותר, היא תמיד תהיה שם וכך גם מחלת LCH. כרגע צריך להמשיך את הטיפול הממושך עד שיום אחד, נמצא גם לזה פתרון."

שתי ההרצאות האחרונות עסקו באימונותרפיה.

אימונותרפיה – מגוון טיפולים נגד סוגים שונים של סרטן, בהם נעזרים במערכת החיסון, שהנה בעלת יכולת טבעית לזהות ולהרוג תאים סרטניים. ישנם מקרים בהם התאים הסרטניים חומקים ממערכת החיסון ועקב כך, עלולים להתרבות. המטרה בסוג הטיפול הזה, הנה ליצור את התנאים המיטיביים עבור מערכת החיסון, שתגיב באופן ממוקד נגד תאי הגידול עד לעצירת התפשטותם של תאי הסרטן והשמדתם.

פרופ' תורן מסביר: "לאחר עשרות שנים בהן לא הושגה פריצת דרך משמעותית בהכנסת תרופות חדשות ושיטות טיפוליות בלוקמיה בילדים, הצליח המרכז הרפואי בשיבא להיות המרכז האקדמי הראשון מחוץ לארה"ב, שהצליח ליישם את הטכנולוגיה המיוחדת בתוך בית החולים, ללא סיוע של חברות תרופות ולהעניק לילדים ישראלים חולי לוקמיה סיכויי הבראה דומים לסיכויים שקיימים בארה"ב".

ד"ר יעקבי מדגיש כי טיפול אימונותרפי אינו עומד בזכות עצמו, אלא כטיפול משלים ומוסיף: "אני מקווה כי באותה דרך בה אנו התייחסנו לחלק הראשון של הכנס, כך גם נדבר על האימונותרפיה

בעוד חמש שנים. אנו מעניקים את הטיפול לחולים עם מחלות המטולוגיות שטיפול זה הוא קו הטיפול האחרון בהם והוא מהווה תקוותם האחרונה. עד כה טיפלנו שלא מעט מטופלים - ילדים ומבוגרים עם אחוזי הצלחה גבוהים".

הרצאה ראשונה - זיהוי תאי T ספציפים נגד מוטציות לצורך אימונתרפיה בסרטן

Cyrill Cohen, Bar Ilan University, Ramat Gan, Israel

Isolation and study of neoantigen-specific T cells from tumor and peripheral lymphocytes for personalized immunotherapy

ד"ר כהן הציג זווית ראייה שונה לגבי היכולת של הטיפול בתאי T והתייחס לאיזון בין תקיפת התאים הסרטניים לבין האימונולוגיה ויכולת של מערכת החיסון לתקוף רק את המטרה בצורה יעילה. לתקוף או לא לתקוף – זו השאלה!

לטענתו, צריך למצוא דרכים נוספות להנדס את התאים כדי שילחמו בתאים הסרטניים בנוסף לטיפול החדשני בתאי CAR-T - שמאפשר שימוש בתאים של החולה עצמו, טיפול במעבדה והזרקתם לגוף כדי שיתקפו את התאים הסרטניים. השאלה היא, איך מבודדים כמות נאותה של תאים שיתאימו להשתלה ומה עושים במקרים בהם אין גישה לתאי T בגידול עצמו. אתגרים נוסף אליהם התייחס – היכולת של מערכת החיסון ליצור רגרסיה כשהיא תוקפת את התאים הסרטניים וכיצד ניתן לבודד תאי T זמינים, ממחזור הדם של החולה, במקרים בהם אין תאי T זמינים.

ד"ר כהן סיפר על מחקר אותו הוביל יחד עם צוותו הישראלי ובשיתוף חוקרים מהמכון הלאומי לבריאות בארצות הברית NIH, בו מצאו דרך להנדס את התאים. הם זיהו ואתרו תאי דם לבנים במערכת החיסון של שמונה חולי סרטן, הרבו אותם במעבדה והחדירו אותם בחזרה לחולים כדי שהתאים יתקפו את הגידולים הסרטניים. אצל ארבעה מתוך השמונה הגידולים נעלמו. ממצאי המחקר תומכים ב'רפואה מותאמת אישית'.

הסרטן נגרם כתוצאה משינוי ב-DNA של תאים רגילים - מוטציה. יחד עם זאת, מערכת החיסון רגישה ויכולה להבחין בין תאים רגילים לתאים סרטניים. ישנם מקרים בהם קיים קושי לזהות את המוטציות הגנטיות שמייצרות את המחלה כתאים לא תקינים שצריך להשמידם. בשנים האחרונות ישנה סברה כי חלקים ממערכת החיסון כן יודעים לזהות מוטציות סרטניות. הבעיה היא שהזיהוי הוא חלקי בלבד. אתגר נוסף: למרות הדמיון בין סוגי הסרטן – ההתמודדות של כל אחד היא אישית ומושפעת מהמאפיינים של מערכת החיסון ומסוג המחלה.

הרצאה שנייה - טיפול מסוג T-CAR בממאיריות בקרב ילדים

Claudia Rossig, University Children's Hospital, Munster, Germany

CAR-T cell therapies for childhood cancers

פרופ' רוסיג היא מראשוני מפתחי הטיפול החדשני ב-CAR T, אשר הומצא על ידי צוות ישראלי בראשות פרופ' זליג אשחר. הטיפול מיועד למגוון סוגי סרטן באמצעות הנדוס גנטי של תאי CAR-T של החולה. מדובר בהליך רפואי נדיר במהלכו מוחדר לתאים במערכת החיסונית גן מהונדס – שמכוון אותם לתקוף ישירות את הסרטן. מטרת הטיפול הנה לחזק את המערכת החיסונית הטבעית של הגוף, כדי שזו תוכל להילחם בכוחות עצמה בגידול הסרטני. למעשה, מערכת החיסון של החולה היא זו שמשמידה את הגידול.

בטיפול האימונותרפי החדשני, שואבים מגופו של החולה דם בשיטה ייחודית, מבודדים תאי T השייכים למערכת החיסונית ומחזיקים אותם לגופו של החולה, כדי שיתקפו את התאים הסרטניים.

בבית חולים 'תל השומר', עברו את ההליך מטופלים שלא הגיבו טוב לטיפולים הסטנדרטיים. אחרי שכל הטיפולים שניסו נכשלו, שימש עובר הטיפול החדשני מוצא אחרון. מתוכם כ-75% הגיבו תגובה מלאה, דהיינו, נסיגה מוחלטת של המחלה.

ד"ר יעקבי מספר על האתגר לצד אחוזי ההצלחה המרשימים: "בתקופה שלאחר החזרת התאים מערכת החיסון של החולה פועלת נגד הגידול הסרטני, והחולה זקוק לתמיכה רפואית אינטנסיבית. האתגר הוא להפעיל את מערכת החיסון באופן אגרסיבי אך בטוח".

ד"ר רוסיג התייחסה לטיפול התרופתי שמסופק כיום על ידי שתי תרופות מסחריות שמגדירות את הטיפול כ'טרמספורמציה של מחר' וליכולת הריפוי, גם כאשר מדובר בתאים סרטניים עיקשים כדוגמת B-CELL.

הטיפול הרפואי מציג תגובות טובות לסוג זה של טיפול – 82% מהחולים שטופלו באמצעות CAR-T CELLS התאוששו במהרה. הבעייתיות היא שהמחקר והטיפול בחיתוליו ולכן, נכון לרגע זה, מדובר בתוצאות לטווח קצר בלבד (שלושה חודשים), ללא מידע על הישרדות לטווח הארוך. בנוסף, הטיפול הכימותרפי עדיין דרוש כחלק מהטיפול הכולל ומשמש חלק בלתי נפרד, במיוחד בשלב הכנת הגוף לקראת לקיחת התאים.

מסקנות המחקר עד כה:

- ✓ CAR-T CELLS יכולים להוביל לריפוי גם במקרים של לוקמיה ALL
- ✓ Front/2nd line – הכרחי להפגין עליונות כדי לקדם את יעילות הטיפול
- ✓ מדובר בהזדמנות אופטימלית למציאת מגוון טיפולים נוספים
- ✓ חשוב לשתף מידע בקהילת הרופאים בעולם, במטרה לאבטח גישה למגוון מחקרים אקדמיים
- ✓ הכרחי לחדש ולהיות מקוריים בהנדוס ותכנון של הטיפול, כדי שיתאים לסוגים נוספים של סרטן, מעבר ל B- CELL

עוד דובר על התופעות לוואי לטווח הקצר והארוך, שיכולות להתלוות לטיפול החדשני, שברובן אינן מסכנות חיים ויכולות ברוב המקרים להימנע. הפתרון – בשלב המחקרי בו מצוי הטיפול כיום, חשוב לשלב מה דרכי טיפול וזאת מטרה להגיע לתוצאות הכי טובות שאפשר.

פרופ' יזרעאלי מסכם: "חשוב להבין את חשיבות הגישה לתרופות, עבור ילדים ובני משפחותיהם. חלק גדול מהתרופות לא רשומות בסל התרופות ואינן מסובסדות. בכל שנה מטופלים אצלנו בשניידר 250 חולים חדשים עם סרטן. בישראל ובעולם המפותח 85% הילדים מבריאם. הקשר הנפשי שנוצר בינינו לבי הילדים הנו בלתי רגיל. אנחנו מתייחסים לכל ילד כעולם ומלואו, כאילו הם הילדים או הנכדים שלנו. גופים כמו עמותת 'גדולים מהחיים' עוזרים לנו – קהילת הרופאים ההמטו-אונקולוגיים, במטרה לאפשר לילדים לקבל תרופות מסוימות וגם בדיקות מיוחדות, בנוסף לפעילות המדהימה שהם עושים בכל המישורים".