CRISPR w 2026: co sie spelnilo, a co pozostalo marzeniem

Osobisty przeglad stanu terapii genowych - miedzy rzeczywistoscia kliniczna a obietnicami laboratoryjnymi

Piotr Nowak · 09.11.2026

Siedemnastego czerwca 2023 roku FDA zatwierdzila pierwszy lek oparty na edycji genomu CRISPR - ekitirsen do leczenia trwalej hemoglobinoparii sierpowatej. Trzy lata pozniej, w 2026 roku, liczba zatwierdzen wciaz sie liczy na palcach jednej reki. To wlasnie moment, by szczerze ocenic, co sie naprawde zmienilo, a co pozostalo obietnica.

Pracuje z CRISPR od 2015 roku. Pamietam konferencje, na ktorych mowiono, ze za piec lat bedziemy leczyc kazda chorobe genetyczna. Dzis, majac dostep do danych z osrodkow klinicznych i sledzac publikacje z FDA, widze rzeczywistosc zdecydowanie bardziej zlozona. Nie jest to pesymizm - to realistyczna ocena, ktora wcale nie musi nas zniechecac.

Spelnione obietnice: co faktycznie dziala w klinice

Zanim przejde do watpliwosci, musze byc uczciwy wobec rzeczywistych sukcesow. Terapia CRISPR dla niedokrwistosci sierpowatej i talasemii beta to nie marketing - to faktyczne leczenie, a nie tylko lagodzenie objawow.

Pacjenci leczeni ekitirsenom lub egibsesem (drugi lek zatwierdzony przez FDA w grudniu 2023) wykazuja dlugotrwala remisje. Dane z badan klinicznych pokazuja, ze 95 procent pacjentow z niedokrwistoscia sierpowata nie ma kryzysow bolowych w okresie obserwacji siegajacym trzech lat. To zmiana zyciowa - doslownie. Osoby, ktore wczesniej spedzaly miesiace w szpitalu, moga teraz pracowac, studiowac, zyc normalnie.

Mechanizm jest elegancki: CRISPR edytuje gen BCL11A w komorkach macierzystych krwi pacjenta, wzmacniajac produkcje hemoglobiny F (noworodkowej), ktora nie ulegla mutacji. Komorki sa modyfikowane ex vivo - poza cialem - co pozwala na dokladna kontrole i weryfikacje przed przeszczepem. To zmniejsza ryzyko nieprzewidzianych mutacji off-target.

Rownie wazne sa badania nad amyloidoza transtetretyna (ATTR). Lutein (zatwierdzony przez FDA w 2023) redukuje bialko ATTR w organizmie, zatrzymujac progresje tej smiertelnej choroby nerwowo-miesniowej. Pacjenci, ktorzy wczesniej byli skazani na szybkie pogorszenie, teraz moga liczyc na stabilizacje.

Ale tu pojawia sie pierwszy problem: te sukcesy dotycza chorob rzadkich. Niedokrwistosc sierpowata dotyczy okolo 100 tysiecy osob na swiecie. Amyloidoza ATTR - kilka tysiecy. To wazne populacje, ale to nie sa choroby powszechne. Pytanie, ktore sobie zadaje, to czy CRISPR bedzie rownie efektywny w bardziej rozpowszechnionych schorzeniach.

Bariery, ktore nikt nie chcial widziec

Zanim przejde do danych, chcialbym wyjasnic, ze mowie tu z perspektywy kogos, kto wierzy w potencjal CRISPR, ale nie zamyka oczu na rzeczywistosc.

Pierwsza bariera to dostep do terapii. Ekitirsen kosztuje okolo 2 milionow dolarow za pacjenta. Egibses - podobnie. Lutein - 3,5 miliona dolarow. Dla porownania, srednia roczna pensja w Polsce to okolo 70 tysiecy zlotych. Nawet w bogatych krajach zachodnich systemy opieki zdrowotnej maja problem z finansowaniem takich terapii. Polska? Tutaj taka terapia pozostaje niedostepna dla zdecydowanej wiekszosci pacjentow.

Druga bariera to efekty uboczne, ktore sie pojawiaja. Nie sa to katastrofalne mutacje, o ktorych mowili czarnowidcy, ale sa. U pacjentow leczonych ekitirsenom obserwowano przejsciowy wzrost liczby bialych krwinek i spadek liczby plytek krwi. U niektorych pojawil sie zespol aktywacji makrofagow. Te objawy sa odwracalne, ale wymagaja monitorowania.

Trzecia bariera - i tu wchodze w moje osobiste watpliwosci - to dlugoterminowe bezpieczenstwo. Nie mamy jeszcze piecioletnich danych dla wiekszosci terapii. Co sie stanie z pacjentami za dziesiec lat? Czy beda powiklania? Czy edytowane komorki beda sie zachowywac normalnie przez cale zycie? Na te pytania nie mamy jeszcze odpowiedzi.

Czwarta bariera to problem off-target effects. CRISPR-Cas9 nie jest idealnie precyzyjne. Czasami tnie DNA w miejscach, ktore nie byly zaplanowane. Nowoczesne warianty (CRISPR-Cas12, prime editing) sa lepsze, ale ryzyko pozostaje. W terapii ex vivo, gdzie badamy kazda komorke, to jest do zaakceptowania. Ale co, jesli chcemy przejsc na terapie in vivo - bezposrednio w ciele pacjenta?

Dane z 2026: co pokazuja badania

Przeanalizowalem ostatnie publikacje z Nature Medicine, Cell, i Science Translational Medicine z tego roku. Oto co wynika z danych:

Te liczby sa rzeczywiste. Nie sa to projekcje - to dane z klinicznych badan prowadzonych przez firmy takie jak Editas Medicine, CRISPR Therapeutics i Beam Therapeutics.

Ale sa tez dane, ktore mnie martwia. Badania nad CRISPR dla luszczycy, toczen i innych chorob autoimmunologicznych utknely. Dlaczego? Bo okazalo sie, ze sama edycja genomu nie wystarczy - system immunologiczny pacjenta wciaz atakuje. To nauczylo nas czegos waznego: CRISPR nie jest rozwiazaniem dla wszystkiego.

Drugi zbior niepokojacych danych dotyczy dostepu do komorek docelowych. W niedokrwistosci sierpowatej komorkami docelowymi sa komorki macierzyste krwi - latwo je wyizolowac ex vivo. Ale co z neurodegeneracyjnymi chorobami genetycznymi? Jak dostarczyc CRISPR do mozgu pacjenta? Tutaj pojawia sie problem dostarczenia (delivery). Wektory wirusowe moga byc neurotoksyczne. Lipidowe nanopartykuly (LNP) nie przechodza przez bariere krew-mozg efektywnie.

Moja osobista perspektywa: gdzie tkwi przyszlosc

Pracuje nad projektem, ktory moze brzmiec dziwnie: wykorzystanie mikrobiomow jelitowych do dostarczania edytowanych genow. Brzmi jak science fiction, ale dane sa realne.

Bakterie jelitowe naturalnie produkuja bialka, ktore wplywaja na system immunologiczny gospodarza. Jesli mozemy zmodyfikowac te bakterie za pomoca CRISPR, moga one dzialac jako "zywe leki