

Mitől lesz sikeres egy gyógyszerfejlesztés? Magyar kutatók elemzése adhatnak választ a kérdésre

Az utóbbi 20 év kutatásainak eredményei együtt vihetik közelebb a kutatókat az új gyógyszerek és terápiák fejlesztéséhez. De hogyan lesz sikeres egy korábban nem használt gyógyszerjelölt? A HUN-REN Természettudományi Kutatóközpont Gyógyszerinnovációs Központ és a Nemzeti Gyógyszerkutatási és Fejlesztési Laboratórium kutatói az AstraZeneca és a Novartis szakembereivel összefogva eddig sosem publikált adatokat is elemeztek, és három lehetséges új utat is feltérképeztek.

„Az új gyógyszerek felfedezésének legjobb módja az, ha egy régivel kezdjük” – mondta James Black, aki a racionális gyógyszertervezés módszereinek kidolgozásáért és ezzel két életmentő gyógyszer felfedezésért kapott orvosi Nobel-díjat 1988-ban. A vezető gyógyszergyárakkal közösen végzett magyar kutatás is ebből a felismerésből indult és az eddigi legnagyobb – részben soha nem publikált – adatkészlet vizsgálatával hatékony stratégiák azonosítását kínálja az új gyógyszerjelöltek felfedezéséhez. A kutatók a Nature Reviews Drug Discovery [hasábjain megjelent kutatásukban](#) több száz, az elmúlt 20 évben megvalósított kutatási program elemzésével adnak útmutatást az új terápiás célpontokra épülő gyógyszerfejlesztéshez.

Az onkológiai és neurológiai betegségek esetében különösen nagy a várakozás az új terápiás lehetőségekre.

A 2000-es évek elején, az emberi génkészlet feltérképezésével a legtöbben arra számítottak, hogy ez a páratlan tudományos eredmény szinte azonnal új terápiák megjelenéséhez vezet majd. A kutatások során azonban csupán körülbelül 700 fehérje szolgál célpontként a jelenleg ismert több mint 1500 gyógyszer esetében, noha az emberi test közel 20 000 fehérjét kódol. Bár nem mindegyik alkalmas gyógyszercélpontnak, számos olyan, betegséget okozó fehérje létezik, amely potenciálisan kezelhető lenne. Ezért az eddig ki nem használt gyógyszercélpontokban még rengeteg felfedezésre váró lehetőség rejlik.

Az egyre szélesebb körben rendelkezésre álló genetikai és diagnosztikai adatok mesterséges intelligenciával kombinálva új gyógyszercélpontok azonosítását teszik lehetővé, ezekhez azonban új gyógyszerjelölteket is kell találni. A gyógyszerjelöltek kutatása még a korábban már sikerrel célzott fehérjék esetében is komoly kihívást jelent, az újonnan azonosított célpontok esetén pedig ez különösen igaz.

A most megjelent tanulmányban a kutatók több mint 400 olyan kutatási programot vizsgáltak, amelyek sikeresen azonosítottak gyógyszerjelölteket. A hagyományos célpontok esetében az elemzés rámutatott arra, hogy a sikeres gyógyszerjelöltek tulajdonságai szűk tartományban mozognak, amelyek általános iránymutatásként szolgálhatnak a jövő gyógyszerjelöltjei számára.

Három lehetséges új megközelítés

A kutatások olyan új gyógyszercélpontokra is kiterjedtek, amelyeket korábban a hagyományos módszerekkel nehezen – vagy egyáltalán nem – lehetett gyógyszerrel befolyásolni.

- Az egyik ilyen új lehetőség a betegséget okozó fehérje gátlása helyett annak célzott lebontását éri el. A szervezetben feleslegessé vált fehérjék lebontására szakosodott rendszer így a betegséget okozó fehérjét egyszerűen eltávolítja a szervezetből.
- Egy másik ígéretes lehetőség a betegséget okozó [fehérjék kommunikációs hálózatát](#) változtatja meg. Ha az egészséges sejtben egymáshoz nem kapcsolódó fehérjék mégis találkoznak és így betegséget okoznak, akkor a sejten belüli kommunikációt a kölcsönhatásuk megakadályozásával lehet helyreállítani. Ha pedig a betegséget az egymással kapcsolatban álló fehérjék közti kölcsönhatás ellehetetlenülése okozza, akkor a hiányzó kölcsönhatások pótlása lesz a cél - magyarázza Keserű György Miklós, a HUN-REN TTK Gyógyszerinnovációs Központ igazgatója. Ha a célzott fehérjével kevés ponton tudnak kapcsolódni, a kutatók olyan megoldást is alkalmaznak, amely során a molekula kémiai kötással rögzül a fehérjéhez. Így tartósan, visszafordíthatatlanul módosítják a kóros fehérjét, amely ezután már nem tudja betölteni káros szerepét a szervezetben.
- Új megközelítést jelent, olyan kis, fehérjékre emlékeztető molekulák – peptidek – létrehozása is, amelyeket gyűrű alakba zárva ellenállóbbá és hatékonyabbá válnak. Ezek a gyűrűs peptidek szintén ígéretes gyógyszerjelöltek lehetnek.

Az elemzés külön értéke, hogy az új stratégiák sajátosságait is feltárja, és rámutat: ezek gyakran gyökeresen eltérő tulajdonságú gyógyszerjelöltekhez vezetnek, mint korábban. A most közölt eredmények így hozzájárulnak ahhoz, hogy az új megközelítésekkel olyan gyógyszercélpontok, és ezáltal a velük összefüggő betegségek ellen is sikeresen lehessen gyógyszerjelölteket találni, amelyeket a hagyományos megoldásokkal nem lehetett kezelni.

Sajtókapcsolat:

- Torda Júlia, kommunikációs vezető
- kommunikacio@hun-ren.hu

Eredeti tartalom: HUN-REN Magyar Kutatási Hálózat

Továbbította: Helló Sajtó! Üzleti Sajtószolgálat

Ez a sajtóközlemény a következő linken érhető el:

<https://hellosajto.hu/?p=24497>