

Sodobni trendi in nove paradigme v farmaciji

doc. dr. Tomaž Bratkovič

Univerza v Ljubljani, Fakulteta za farmacijo

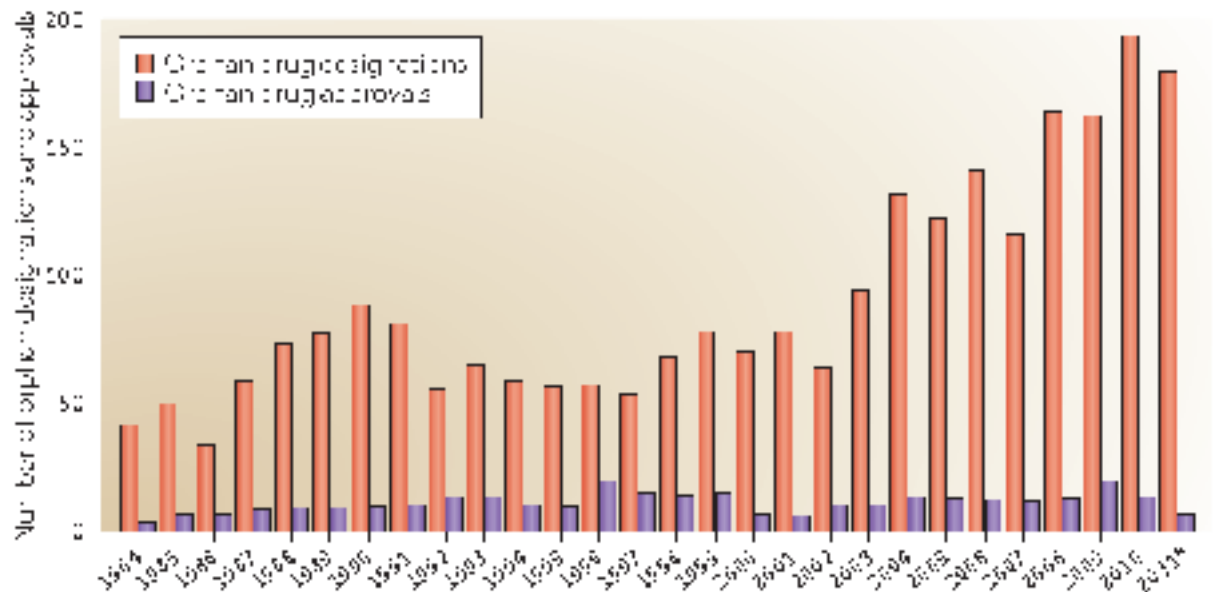
Generična zdravila



- razvoj *novega* zdravila je izjemno drag in zamuden proces, povezan s precejšnjim tveganjem
- kljub višjemu vlaganju v razvoj v zadnjih desetletjih beležimo upad števila registriranih novih zdravil
- iztek patentne zaščite številnih ekonomsko uspešnih zdravil odpira vrata proizvajalcem generičnih in podobnih bioloških zdravil
- demografske spremembe: ekonomski vidiki kroničnih bolezni
- pomen tržne znamke in poseganja na nove trge

Zdravila sirote

- zdravila, namenjena zdravljenju redkih bolezni
- enostavnejša registracija
- finančne prednosti (daljša patentna zaščita, davčni krediti podjetjem...)

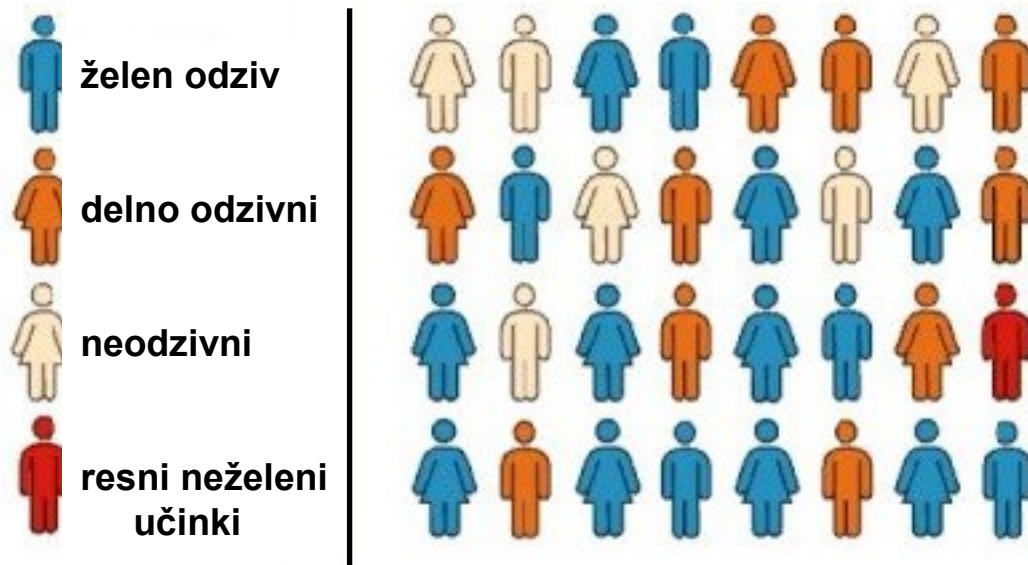


Individualizirano zdravljenje

- individualizirana obravnava bolnika na osnovi genetske variabilnosti
- interindividualne razlike v hitrosti metaboliziranja učinkovine in/ali ozadju bolezenskega procesa (varnejša in učinkovitejša zdravila!)
- tudi ekonomske prednosti identifikacije ciljne skupine pacientov: uspeh pri registraciji zdravil, ki bi jih na naključno izbranem vzorcu pacientov ovrednotili kot neučinkovite

Funkcijska genomika

- veda, ki raziskuje delovanje genoma, vpliv okolja na izražanje genov in interakcije med genskimi produkti
- projekt Človeški genom (1990-2003)
- **farmakogenetika** – genetski vzroki interindividualnih razlik v odzivu na učinkov



Funkcijska genomika

- primarni vzrok številnih dednih bolezni so mutacije v genih, ki ne kodirajo proteinov – premik paradigme v načrtovanju zdravil
- s korekcijo aktivnosti endogenih **nekodirajočih RNA**, ki uravnavajo nivo izražanja proteinov, je moč odpraviti vzroke nekaterih bolezni

zvišano izražanje
določene miRNA
kot vzrok bolezni



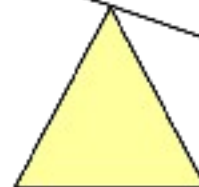
zaviranje aktivnosti
specifične miRNA



vnos eksogene
miRNA, ki
posnema aktivnost
manjkajoče miRNA

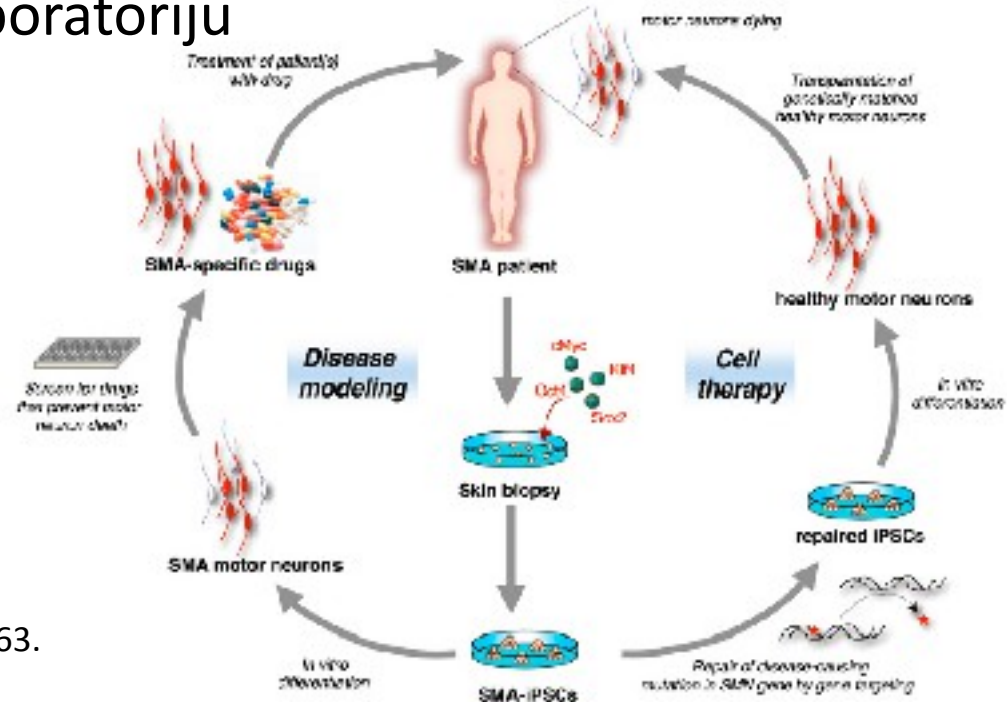


znižanje izražanja
določene miRNA
kot vzrok bolezni



Inducirane pluripotentne matične celice

- dediferencirane somatske celice, ki so se sposobne preobraziti v različne celične vrste
- alternativa živalskim modelom bolezni: vpogled v patofiziologijo bolezni na molekularnem nivoju in proučevanje odzivov na učinkovino v laboratoriju



Stadtfeld M in Hochedlinger K.
Genes Dev 24, 2010: 2239-2263.

„Napovedovanje je sila nehvaležno,
sploh prihodnosti.“

Niels Bohr

