

Tisková zpráva, Brno, 27. února 2023

Léky na míru – Brněnští farmakologové vyvíjejí léčiva na vzácná onemocnění

Některé ze zhruba sedmi tisíc popsaných vzácných onemocnění postihuje asi 5 % populace. V Česku odhady hovoří o 350 až 600 tisících pacientů, kteří se potýkají s nepříliš rozšířenou, ale mnohdy závažnou diagnózou. Tým vědců z Lékařské fakulty Masarykovy univerzity jim přináší prozatím alespoň naději vývojem léčiv pod hlavičkou projektu, který nemá ve středoevropském regionu obdoby.

Běžná chemická léčiva tvoří – a vždy budou tvořit – majoritní část dostupných farmakologických přípravků. Už ze své podstaty však nemůžou univerzálně fungovat u všech pacientů. Tým pod vedením docentky Reginy Demlové, přednostky Farmakologického ústavu Lékařské fakulty Masarykovy univerzity, proto upíná úsilí k rozvoji personalizované léčby. Možnost využití potenciálu genových a buněčných terapií pro trvalou léčbu pacientů se vzácným onemocněním pokládá za jednu z největších výzev moderní medicíny. A také naději pro pacienty, pro jejichž onemocnění v řadě případů léčba neexistuje vůbec anebo je legislativně a finančně jen obtížně dostupná.

At' už jde o vývoj protinádorové vakcíny na bázi dendritických buněk nebo léku postaveného na mezenchymálních kmenových buňkách schopných obnovovat poškozené tkáně. Ten by mohl v budoucnu znamenat úlevu pro pacienty s diagnózou motýlích křídel; onemocněním projevujícím se bolestivými puchýři na kůži v Česku trpí skoro čtyři stovky pacientů.

„Zjednodušeně řečeno upravujeme lidské buňky tak, abychom vylepšili vlastnosti, které buňkám nemocných chybí. Takto pak můžou pomáhat konkrétním pacientům,“ přibližuje Regina Demlová, stojící rovněž v čele výzkumné infrastruktury CZECRIN zaměřené na akademický klinický výzkum.

„Farmaceutický průmysl realizuje klinické studie za účelem registrace inovativních léčivých přípravků. I po jejich registraci je ale nezbytné provádět nezávislé klinické studie, které přinášejí nové poznatky ve smyslu jejich optimálního použití či správného dávkování.“ Konkrétně vývoj léku na onemocnění motýlích křídel se zatím nachází v první ze tří nezbytných fází, která má poskytnout data o bezpečnosti. V té následující přijde na řadu účinnost.

Demlová připouští, že jde o běh na dlouhou trať, byť se jejímu týmu daří časový horizont vývoje léčiv notně zkracovat. Z CZECRINU se během deseti let stala výzkumná infrastruktura západní úrovně. Loni navíc s kolegy zapsali pro fakultu bezprecedentní úspěch, když získali evropský grant pro projekt CREATIC, jehož smyslem je propojení geograficky blízkých akademických a klinických pracovišť za účelem zvýšení dostupnosti právě vysoce personalizované léčby, včetně genových terapií v celé škále procesu jejich vývoje.

„Realizací tohoto projektu vznikne prvotřídní pracoviště pro výzkum a vývoj preparátů v oblasti genových a buněčných terapií pro trvalou léčbu pacientů se vzácným onemocněním, pro které v současné době neexistuje odpovídající standardní léčba. Jako celek bude CREATIC schopný nabídnout pacientům a společnosti bezpečnou, jedinečnou a finančně udržitelnou léčbu v rámci

konceptu spravedlivé medicíny. Vzhledem k tomu, že se nacházíme v nekomerční sféře, nemáme žádné akcionáře, tak si můžeme sami určovat jaká léčiva budeme vyvíjet,“ přibližuje Demlová výjimečnost nového šestiletého projektu z pozice jeho garantky.

Na půdě Lékařské fakulty Masarykovy univerzity tak mohou vznikat léčiva ovlivňující nejen onemocnění motýlích křídel, ale i další monogenně podmíněné choroby, tedy takové, jejichž příčinou je jedna konkrétní genová mutace. *„Určitě nebudeme schopni vyléčit všechny pacienty se vzácnými chorobami, ale pro určité typy onemocnění naše řešení cestou určitě je. A věřím, že za pár – i kdyby desítek – let dokážeme s našimi přípravky opravovat chybné genetické informace a pacientům pomáhat.“*

Kontakty pro média:

Ing. Jakub Johaník, Odborný pracovník / Koordinátor, Masarykova univerzita, Lékařská fakulta, Farmakologický ústav / CZECRIN: jakub.johanik@med.muni.cz, +420 734 642 235

Ing. Marie Krulová, Vedoucí oddělení komunikace a vnějších vztahů, Masarykova univerzita, Lékařská fakulta: marie.krulova@med.muni.cz, +420 605 516 228

CZECRIN je výzkumná infrastruktura podporující realizaci akademického klinického výzkumu v České republice. Jako český uzel Evropské sítě infrastruktur klinického výzkumu ECRIN-ERIC zásadním způsobem přispívá k zapojení akademických institucí do mezinárodního projektu klinického výzkumu. Na farmakologickém ústavu CZECRIN působí od roku 2014. Je financován z prostředků Ministerstva školství, mládeže a tělovýchovy. Příjemcem projektu je Lékařská fakulta Masarykovy univerzity a jeho hlavním partnerem je Fakultní nemocnice u sv. Anny v Brně.