

# **Crearea unui medicament. Etapele 3 și 4: Alegerea unei molecule sau a unei direcții de dezvoltare**

## **Introducere**

Pentru ca un nou medicament să devină disponibil pentru pacienți, este nevoie, în medie, de 12 ani și de o investiție de peste 1 miliard de Euro pentru activitățile de cercetare și dezvoltare.

Dezvoltarea medicamentelor este o întreprindere riscantă. Majoritatea (cca 98%) substanțelor dezvoltate nu ajung pe piață ca medicamente noi. Principala cauză este aceea că analiza beneficiilor și riscurilor (efectele secundare negative) descoperite în timpul dezvoltării unui medicament nou va indica faptul că acesta este inferior medicamentelor aflate deja la dispoziția pacienților.

Dezvoltarea unui medicament nou poate fi împărțită în 10 etape. Articolul de mai jos abordează Etapele 3 & 4: Generarea și optimizarea direcțiilor de dezvoltare.

## **Etapa 3: Generarea direcțiilor de dezvoltare**

Acest pas constă în găsirea unei molecule care să interacționeze cu ținta. Molecula poate proveni dintr-o sursă naturală, de exemplu o plantă, sau poate fi creată de către chimiști. Acestea sunt numite „molecule mici”. Sute de mii de molecule vor fi testate pentru identificarea „direcțiilor de

dezvoltare”, respectiv a moleculelor care interacționează cu ținta. Căutarea direcțiilor de dezvoltare poartă numele de proces de selecție. Robotica modernă permite selecția de mare randament. Acest lucru înseamnă că milioane de molecule pot fi testate rapid. Odată ce direcțiile de dezvoltare au fost generate sau găsite, procesul poate trece la etapa următoare.

Este, de asemenea, posibilă găsirea unor molecule mari (proteine) care să interacționeze cu ținta. Aceste molecule mari sunt mult mai dificil de produs. Acestea sunt produse prin procedee biotehnologice și sunt, prin urmare, descrise ca „materiale biologice”. În biotehnologie, moleculele mari sunt produse de celulele-gazdă ale unui organism viu – cum ar fi bacteriile, drojdiile sau celulele animale – în bazine mari de fermentare. Proteinele sunt apoi separate și purificate. Proteinele purificate pot fi utilizate apoi pentru explorarea interacțiunii cu ținta.

În mod tradițional, industria farmaceutică a produs „molecule mici”, transformate apoi în noi medicamente. În prezent, sunt, de asemenea, produse molecule mari (proteine) sau „materiale biologice”. Atât moleculele mici, cât și materialele biologice sunt importante pentru dezvoltarea medicamentelor.

## **Etapa 4: Optimizarea direcțiilor de dezvoltare**

În timpul optimizării direcțiilor de dezvoltare, moleculele sunt modificate în vederea îmbunătățirii efectelor acestora. Procesul de selecție identifică „direcții de dezvoltare”, respectiv molecule care interacționează cu ținta. Deseori, însă, aceste molecule au efecte slabe și nu sunt adecvate pentru dezvoltarea ulterioară. Prin urmare, chimiștii modifică molecula selectată pentru direcția de dezvoltare adăugând sau eliminând elemente. Acest lucru creează o varietate de molecule ușor diferite unele față de celelalte. Molecula unui

medicament existent poate, de asemenea, fi modificată pentru îmbunătățirea sau schimbarea efectului acesteia. Tehnologia informației poate facilita designul acestor molecule.

Aceste molecule modificate sunt apoi testate pentru a se determina structura care are cel mai înalt nivel de eficacitate și de siguranță (respectiv, care este tolerată cel mai bine). Aceste studii ajută oamenii de știință să înțeleagă farmacologia moleculei, respectiv modul în care molecula acționează în corp. Testele pot continua apoi pentru moleculele cu niveluri mai înalte de eficacitate și siguranță, considerate a fi „medicamente candidate”. În acest moment, informațiile științifice și tehnice ale compusului candidat, de exemplu structura moleculară și efectele acestuia, sunt, în mod normal, înregistrate sau brevetate în scopul protecției proprietății intelectuale asupra acestora.

Nu uitați: în fiecare etapă a procesului de dezvoltare, sunt analizate rezultatele unei serii de experimente și trebuie luată decizia de continuare sau întrerupere a procesului. Decizia de continuare implică investiții suplimentare, care vor finanța următorul grup de experimente. Dacă informațiile colectate în timpul experimentelor nu susțin continuarea procesului, se decide întreruperea acestuia, iar proiectul este oprit.

## **Rezumat: Etapele 1–4**

Un medicament candidat apare numai după selectarea țintei corecte și identificarea celui mai bun compus pentru direcția de dezvoltare. În această etapă, procesul de descoperire a medicamentului:

- va fi durat, în medie, 4,5 ani,
- va fi implicat testarea unui număr mare de molecule (între 5000 și 10.000 – sau chiar mai multe în cazul moleculelor mici **și**

- va fi costat, în medie, 500 de milioane de Euro.

Compusul candidat poate fi o moleculă mică sau un material biologic.

## Referințe

1. Edwards, L., Fox, A., & Stonier, P. (Eds.). (2010). *Principles and practice of pharmaceutical medicine* (3rd ed.). Oxford: Wiley-Blackwell.

## Atașamente

- **Präsentation: Die grundlegenden Prinzipien der Arzneimittelerntdeckung und -entwicklung**

Size: 945,895 bytes, Format: .pptx

Die grundlegenden Prinzipien der Arzneimittelerntdeckung und -entwicklung. Es dauert über 12 Jahre und kostet mehr als eine Milliarde Euro, all die Forschungs- und Entwicklungsarbeiten durchzuführen, die erforderlich sind, bis ein neues Arzneimittel für die Behandlung von Patienten zur Verfügung steht. Diese Präsentation stellt die Details des Prozesses von der Entdeckung bis zur Markteinführung eines neuen Arzneimittels und darüber hinaus vor.

A2-1.02.3-V1.1