

Framställa ett läkemedel. Steg 2: Val av mål

Det tar över 12 år och kostar i genomsnitt över 1 miljard euro att genomföra all nödvändig forskning och utveckling innan ett nytt läkemedel är tillgängligt för användning av patienter.

Läkemedelsutveckling är ett högriskprojekt. Majoriteten av de substanser (omkring 98 procent) som utvecklas lyckas inte nå marknaden som nya läkemedel. Detta beror främst på att granskningen av nyttan och riskerna (negativa biverkningar) som upptäcks under utvecklingen medför att de inte kan konkurrera med de läkemedel som redan finns tillgängliga för patienter.

Utvecklingen av ett nytt läkemedel kan delas in i tio olika steg. Följande artikel behandlar steg 2: Val av mål.

Vad är ett mål?

Sjukdomar uppkommer när kroppens normala processer ändras eller inte fungerar som de ska. Vid utveckling av ett läkemedel är det viktigt att förstå i detalj (på molekylnivå) vad som har gått fel. Det innebär att man sedan kan rikta in sig på och åtgärda den onormala processen. Målet kan vara en molekyl som det har producerats för mycket av, så att den stör den normala kroppsfunktionen, en molekyl som inte produceras i normala mängder eller en molekyl som har en onormal struktur. Till exempel vid diabetes produceras för lite insulin eller cellerna reagerar inte på det, och vid cancer kan det finnas för mycket av en kemisk budbärare som skickar signaler till cellerna om onormal tillväxt.

Hur fungerar "målinriktad" behandling?

På bilden nedan visas en enkel skiss av en cell med en kärna och en receptor på cellens yta.

- Kärnan fungerar som cellens kontrollcentrum – den innehåller det genetiska materialet.
- Med hjälp av receptorn kan kemiska budbärare kommunicera med kärnan.

När en kemisk budbärare, i detta fall "tillväxtfaktorn", kombineras med tillväxtfaktorreceptorn på cellens yta genereras ett meddelande inuti cellen. Detta kommunicerar sedan med kärnan, som därefter stimulerar cellen till att dela sig. När signaleringen sker okontrollerat leder celltillväxten till cancer. Genom blockering av receptorn i cancerceller förhindras överföring av meddelandet till kärnan, vilket därmed förhindrar okontrollerad celltillväxt.

Om man kan blockera receptorn i cancerceller

- skickas inte meddelandet
- förhindras okontrollerad celltillväxt.

I det här exemplet är "målet" således tillväxtfaktorreceptorn.

Betydelsen av valet av mål

I många fall är det omöjligt att veta exakt vad som har gått fel. Ofta finns flera avvikelser, eller "mål", vid en sjukdom, men forskarna kan inte säga exakt vilket mål som är orsaken till sjukdomen. Det kan också hända att dessa avvikelser inte har orsakat sjukdomen, vilket innebär att sjukdomen inte botas när man försöker åtgärda dem. I detta fall kanske utvecklingsprojektet angriper fel mål, så att det till slut misslyckas. Det innebär att det är avgörande att välja det

bästa målet att arbeta med i ett projekt.

Referenser

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

Bilagor

A2-1.02.2-V1.1