

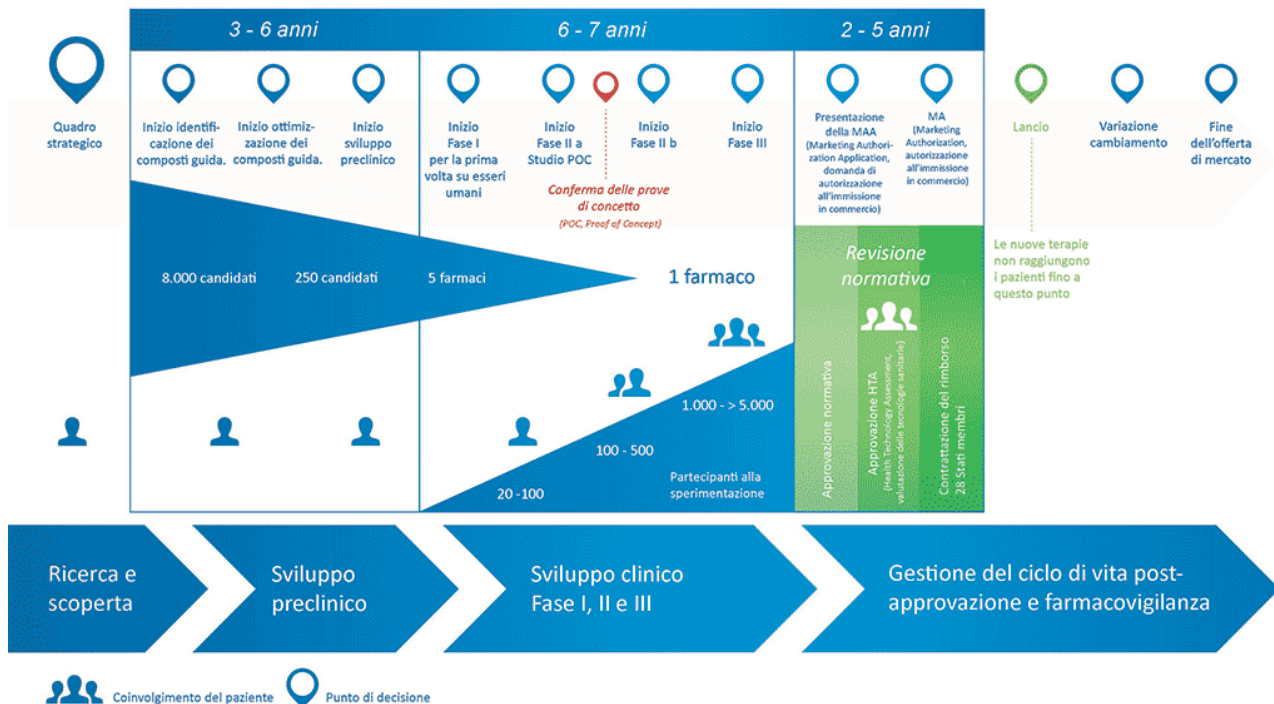
Realizzare un farmaco. Fase 2: Selezione del target

Sono necessari più di 12 anni e in media più di 1 miliardo di euro per condurre tutte le ricerche e lo sviluppo richiesti prima che un nuovo medicinale sia disponibile per l'uso da parte dei pazienti.

Lo sviluppo di farmaci è un'impresa ad alto rischio. La maggioranza (circa il 98%) delle sostanze sviluppate non riesce ad arrivare sul mercato come nuovo medicinale. Ciò accade soprattutto perché osservando i benefici e i rischi (effetti collaterali negativi) riscontrati durante lo sviluppo, non sono comparabili positivamente rispetto ai farmaci già disponibili per i pazienti.

Lo sviluppo di un nuovo farmaco può essere suddiviso in 10 fasi diverse. Il seguente articolo si occupa della Fase 2: Selezione del target.

Panoramica sui punti decisionali e sulle fasi di sviluppo nella ricerca e nello sviluppo di farmaci



Occorrono oltre 10 anni di attenta pianificazione e ricerca perché un farmaco passi da molecola a trattamento disponibile sul mercato.

Che cos'è un target?

Le malattie si verificano quando i normali processi corporei sono alterati o non funzionano in modo appropriato. Nello sviluppo di un farmaco, è importante comprendere in dettaglio (a livello delle molecole) che cosa non funziona. Ciò significa che i processi anomali possono essere "presi di mira" e corretti. Il "target" può essere: una molecola che è stata prodotta in eccesso, interferendo quindi con le normali funzioni corporee; una molecola che non viene prodotta in quantità normali o una molecola che ha una struttura anomala. Per esempio, nel diabete vi può essere una scarsa produzione d'insulina o cellule che non rispondono ad essa, e nel cancro una quantità troppo elevata di un messaggero chimico che

segnala alle cellule di crescere in modo anomalo.

Come funziona il "mirino"?

La figura sotto mostra una rappresentazione elementare di una cellula con un nucleo e un recettore sulla superficie cellulare.

- Il nucleo agisce da centro di controllo per la cellula – esso contiene il materiale genetico.
- Il recettore permette ai messaggeri chimici di comunicare con il nucleo.

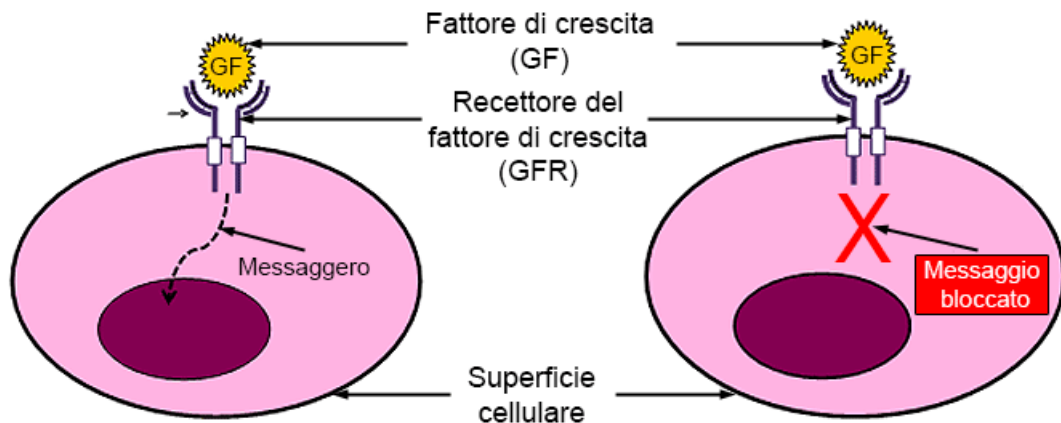
Quando un messaggero chimico, in questo caso il "fattore di crescita", si combina con il recettore del fattore di crescita sulla superficie cellulare, viene generato un messaggio all'interno della cellula stessa. Esso comunica quindi con il nucleo che poi stimola la cellula a dividersi. Quando il segnale è incontrollato, la crescita cellulare porta al cancro. Il blocco del recettore nelle cellule tumorali impedirà la trasmissione del messaggio al nucleo e di conseguenza la crescita cellulare incontrollata.

Se è possibile bloccare il recettore nelle cellule tumorali, ciò:

- interromperà l'invio del messaggio, e
- impedirà la crescita cellulare incontrollata.

Il "target" in questo esempio, è quindi il recettore del fattore di crescita.

Cellule, recettori e messaggeri



Cellule, recettori e messaggeri. Il fattore di crescita, un messaggero chimico, si combina con il recettore del fattore di crescita sulla superficie della cellula, stimolando un messaggio al nucleo. Il blocco del recettore nelle cellule tumorali impedirà la trasmissione del messaggio e quindi la crescita cellulare incontrollata. Il "target" in questo diagramma è il recettore del fattore di crescita.

L'importanza della selezione del target:

In molti casi è impossibile conoscere in dettaglio che cosa non ha funzionato. In una malattia, vi sono spesso diverse anomalie gravi, o "target", ma gli scienziati non possono sapere precisamente quale target sia responsabile della malattia. Potrebbe anche accadere che tali anomalie non abbiano causato la malattia e che quindi provare a correggerle non porterà a trattarla. In questo caso, il progetto di sviluppo potrebbe indirizzarsi al target sbagliato e quindi in definitiva fallire. Ciò significa che in un progetto è decisivo selezionare il target migliore su cui lavorare.

Riferimenti bibliografici

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

Allegati

- Scheda informativa: scoperta di un farmaco

Size: 1,204,035 bytes, Format: .docx

Scoperta di un farmaco. Questa scheda informativa si occupa delle fasi della scoperta e del processo di sviluppo di farmaci che hanno luogo prima che un composto venga studiato in esseri umani, dalla pre-scoperta (raccolta d'informazioni su una malattia) a studi non clinici di sicurezza in animali.

- Presentazione: i principi di base relativi alla scoperta e allo sviluppo di farmaci

Size: 877,906 bytes, Format: .pptx

I principi di base relativi alla scoperta e allo sviluppo di farmaci. Sono necessari più di 12 anni e più di 1 miliardo di euro per condurre tutte le ricerche e lo sviluppo richiesti prima che un nuovo medicinale sia disponibile per l'uso da parte dei pazienti. Questa presentazione spiega in dettaglio il percorso a partire dalla scoperta fino all'immissione sul mercato di un nuovo farmaco e oltre.