

## Mohl by "brain shuttle" dopravit léky pro Huntingtonovu chorobu tam, kde jsou potřebné?



"Brain shuttle" dovoluje lékům proklouznout přes hematoencefalickou bariéru. Mohlo by to fungovat i pro léky na HCH?

Autor Dr Jeff Carroll 07. Březen 2014

Editor Dr Ed Wild; Přeložil Monika Baxa

Poprvé publikováno 20. Leden 2014

---

*Mohl by "brain shuttle" dopravit léky pro Huntingtonovu chorobu tam, kde jsou potřebné?*

Farmaceutický gigant Roche nedávno popsal novou technologii, kterou nazývá "brain shuttle" (doprava/transport do mozku). Proč se v souvislosti s touto technologií v mnohých tiskových zprávách zmiňuje Huntingtonova choroba a jaká je naděje, že z tohoto nového objevu něco vytěžíme?

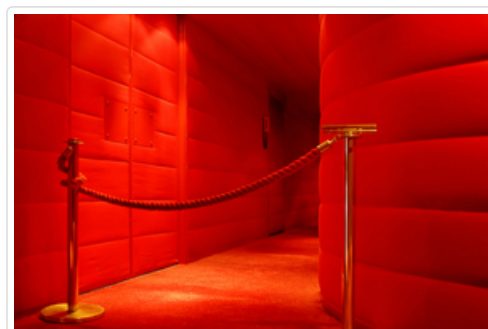
### Hematoencefalická bariéra

Vývoj jakéhokoli nového léku je těžkou úlohou a pravděpodobnost neúspěchu je extrémně vysoká. Průzkum nasvědčuje tomu, že vzhledem k množství klinických testů s negativním výsledkem, stojí uvedení úspěšného léku na trh až miliardu dolarů!

Disponujíc s tak špatnou zprávou je pro vědce o to těžší vyvinout léky pro mozkové onemocnění typu Huntingtonovy choroby. Částečně, je to kvůli obrovské komplexitě mozku a jeho mnohým záhadám, které dosud nejsou objasněny.

Další komplikací je existence takzvané **hematoencefalické bariéry**,

která působí jako velice vybíravý filtr, nebo jako přísný vyhazovač nočního klubu, který ze "seznamu hostů" mozku vylučuje většinu látek.



Mozek je velice vybíravý v tom, kterým chemikáliím z krve dovolí vstoupit. Na jeho VIP seznamu hostů je jen velmi málo látek.

Vzhledem k tomu, jak důležitý je mozek pro naše přežití a jak křehké mozky jsou, je hematoencefalická bariéra rozhodující obranou proti toxickým látkám, které se do mozku můžou dostat. Nevýhodou této stěny mezi mozkiem a krví je, že je velice obtížné navrhnout léky, které by touto stěnou prošly a dostaly se z krve do mozku.

Nezdar ve vývoji léků pro mozkové onemocnění je v porovnání s jinými onemocněními vyšší i díky existenci této bariéry.

### Protilátkové léky pro Alzheimerovu chorobu

S ohledem na skutečnost, kolik lidí je postižených Alzheimerovou chorobou, je pro různé farmaceutické firmy toto onemocnění z pohledu vývoje léků velice přitažlivým cílem. Jakákoli firma, která má dostatek způsobilosti a štěstí na to, aby vyvinula účinný lék pro Alzheimerovu chorobu, by parádně vydělala.

Mezi vědci, kteří se věnují Alzheimerově chorobě, panuje jedna důležitá teorie: a sice, že problémy s pamětí a myšlením, kterými oběti trpí, jsou způsobené vytvořením chomáčů proteinů, které se nazývají **plaky**. Tyto plaky jsou nacpané v prostoru mezi buňkami mozku a zdá se, že mají spojitost se smrtí a selháváním mozkových buněk kolem nich.

U myších modelů Alzheimerovy choroby, můžeme plaky v mozku odstranit pomocí imunitního systému. Když jsou naše těla napadené organizmy, které způsobují onemocnění, naše tělo proti nim bojuje vytvářením **protilátek**. Protilátky jsou v zásadě na zakázku konstruované senzory, které rozeznávají buňky vetřelců a dávají signál imunitnímu systému, aby je odstranil.

Vědci vyvinuli protilátky, které rozeznávají plaky nacházející se v mozku pacientů s Alzheimerovou chorobou a pomáhají s jejich odstraněním. Alespoň u myší to vede ke zlepšení v myšlení a paměti.

” “Brain shuttle” fungoval, pronikání protilátky do mozku se zvyšovalo a pomáhalo v odstraňování plaků u protilátkou ošetřených myší.

““

## Proč potřebujeme “brain shuttle”?

Problém je vyřešen, nebo ne? Ne, není vyřešen. Za prvé, z klinických testů, které byly dosud provedeny, zatím není jasné, jestli redukce plaků bude pro pacienty s Alzheimerovou chorobou tak užitečná jak je užitečná pro myši.

Za druhé, protilátky jsou obrovské molekuly a v případě, že jsou injikovány do krevního oběhu, jim hematoencefalická bariéra velkou měrou zabráňuje ve vstupu do mozku. Ačkoli není jasné, že hematoencefalická bariéra je důvodem proč tyto léky pro Alzheimerovu chorobu selhaly, toto omezení rozhodně není léčbě nápomocné.

Farmaceutický gigant Roche zveřejnil novou technologii, které říká **brain shuttle**. Technologie je navržena tak, aby pomohla řešit problém s hematoencefalickou bariérou. V nedávné publikaci (Roche) popisuje použití této techniky na terapii protilátkami pro Alzheimerovu chorobu.

Mozek potřebuje specifické živiny a další zásoby z krve, a proto disponuje aktivními prostředky, které pumpují požadované látky do mozku. Roche si myslí, že prostřednictvím jednoho z těchto specifických prostředků - toho, který do mozku přináší železo - se molekule léku podaří proklouznout přes hematoencefalickou bariéru.

Vědci v Roche vzali protilátku, která odstraňuje plaky u Alzheimerovy choroby a spojili ji s “brain shuttle”, doufajíc, že by mohla být transportována do mozku spolu se železem. Toto fungovalo - pronikání protilátky do mozku se zvyšovalo a pomáhalo v odstraňování plaků u protilátkou

ošetřených myší.

Ve skutečnosti, vědci tenhle trik v laboratoři používají již desetiletí. To, co vyvinulo Roche je účinnější způsob transportu látek z krve do mozku.

## A jakou to má spojitost s Huntingtonovou chorobou?

V mnoha tiskových zprávách se psalo o potenciální aplikaci této technologie i pro jiné onemocnění, včetně Huntingtonovy choroby. V dubnu 2013 Roche nadchlo huntingtonickou společnost prohlášením o velké spolupráci s Isis Pharmaceuticals, kalifornskou biotechnologickou společností, která pracuje na vývoji léků, které u Huntingtonovy choroby umlčují geny.

Podobně jako protilátkové léky, které firmy vyvinuly pro Alzheimerovu chorobu, i léky pro umlčení genů, které vyvinulo Isis a jiné společnosti pro Huntingtonovu chorobu, jsou tyto léky „velké“, a budou mít problém projít hematoencefalickou bariérou. Naděje se vkládá do budoucích studií, které by mohly prokázat, že “brain shuttle” od Roche může urychlit transport léků pro umlčení genů (a pravděpodobně i jiných léků) do mozku, kde jsou pro pacienty s Huntingtonovou chorobou potřebné.

## Co si z toho vzít?

Tato studie pro vědce, kteří se potýkají s dopravou velkých léků do mozku, představuje doplněk do soupravy nářadí, kterými mohou disponovat. Teoreticky, by to mohlo být velice užitečné pro terapie pro Huntingtonovu chorobu, jako je např. umlčování genů, které se spoléhá na velké molekuly, které se do mozku dostávají těžko. Doposud nikdo netestoval “brain shuttle” s cílem doručit specifický lék pro Huntingtonovu chorobu - ať už na zvířecích modelech nebo na lidech. Toto je ale jistě velkou prioritou na programu výzkumu firmy Roche a její spolupracovníků.

---

*Dr. Carroll vědecky spolupracuje s Isis Pharmaceuticals, která je v článku vzpomenuta. Isis poskytuje dr. Carrollovi nefinanční podporu na jeho výzkum, ale neměla žádný vliv na přípravu a obsah tohoto článku. Dr. Wild nemá střet zájmů ani s Isis ani s Roche. Pro více informací o našich zásadách pro zpřístupnění informací nahlédněte na FAQ...*

---

## Slovník

**umlčování genů** způsob jak léčit HCH využitím vybraných molekul, které buňkám "řeknou", že nemají produkovat škodlivý huntingtin protein

**terapie** ošetřování



“Brain shuttle” od Roche připojuje molekulu léku na další, která je na seznamu “hostí” mozku, čímž posiluje jeho příjem z krve.

---

© HDBuzz 2011-2017. Obsah HDBuzz je sdílen zdarma, v rámci Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz má informační charakter, nenahrazuje odbornou péči. Pro více informací navštivte [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Vytvořeno dne 13. Červenec 2017 — Staženo z: <https://cs.hdbuzz.net/154>