



# МЕДИЦИНА И ЗДРАВООХРАНЕНИЕ

## НОВАЯ ДИАГНОСТИКА И ТЕРАПИЯ: ИНДИВИДУАЛЬНЫЙ ПОДХОД НА КЛЕТОЧНОМ УРОВНЕ

*Чтобы с высокой точностью прогнозировать развитие болезней, эффекты и нежелательные последствия той или иной терапии, важно глубоко понимать генетические основы человеческого существования. Почему пациенты по-разному реагируют на медицинские вмешательства — лечебные и профилактические? Почему в схожих условиях одни люди заболевают (причем с разной степенью выраженности болезни), а другие — нет? Ответы кроются на молекулярном уровне.*

*Благодаря научным прорывам в сфере информационных и биотехнологий исследователи уже могут фокусироваться на молекулярных механизмах развития многих болезней и оценивать вероятность возникновения конкретных ответов на терапевтические воздействия у разных людей. А вот возможности лечения на основе индивидуальных характеристик пациента пока еще сильно ограничены.*

*Разработки в сфере персонализированной медицины, позволяющие «исправлять» выявленные нарушения в нуклеотидной последовательности, активно ведутся по всему миру. В настоящем выпуске информационного бюллетеня представлены три технологических тренда, которые могут стать ключевыми драйверами развития в этой области, а в перспективе ближайшего десятилетия — значительно повысить качество медицинских услуг.*

Трендлetter выходит 2 раза в месяц.

Каждый выпуск посвящен одной теме:

– **Медицина и здравоохранение**

- Рациональное природопользование
- Информационно-коммуникационные технологии
- Новые материалы и нанотехнологии
- Биотехнологии
- Транспортные средства и системы
- Энергоэффективность и энергосбережение

В следующем номере:

Энергоэффективность и энергосбережение

Мониторинг глобальных технологических трендов проводится Институтом статистических исследований и экономики знаний Высшей школы экономики (issek.hse.ru) в рамках Программы фундаментальных исследований НИУ ВШЭ.

При подготовке трендлetterа использовались следующие источники: Прогноз научно-технологического развития РФ до 2030 года (prognoz2030.hse.ru), материалы научного журнала «Форсайт» (foresight-journal.hse.ru), данные Web of Science, Orbit, marketsandmarkets.com, mckinsey.com, alliedmarketresearch.com, mrrse.com, fda.gov и др.

Более детальную информацию о результатах исследования можно получить в Институте статистических исследований и экономики знаний НИУ ВШЭ: issek@hse.ru, +7 (495) 621-82-74.

© Национальный исследовательский университет «Высшая школа экономики», 2015

Над выпуском работали:

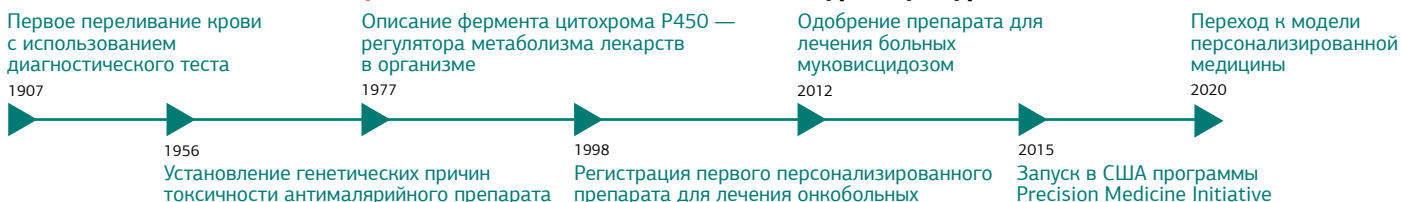
Руслан Сайгитов, Анна Соколова, Надежда Микова, Лилия Киселева, Елена Гутарук, Карина Назаретян, Ким Воронин.

## СОПРОВОЖДАЮЩИЕ ДИАГНОСТИЧЕСКИЕ ТЕСТЫ

Широко распространенные заболевания сейчас лечат путем подбора лекарств, воздействующих на большую «целевую аудиторию». В будущем для назначения эффективной и безопасной терапии врачи смогут учитывать индивидуальные особенности пациента, отражающиеся в его генетическом коде, молекулярном профиле, метаболизме, поведенческих реакциях. Насколько та или иная терапия подходит конкретному человеку, помогают понять биомаркеры — гены, белки, которые однозначно связаны с эффектами определенного медицинского вмешательства.

Разработку персонализированных лекарств сопровождают специальные диагностические тесты. С их помощью фармацевтические компании выявляют биомаркеры, указывающие на группу больных, для которых новое лекарство будет полезным и безопасным. Все доступные зарегистрированные сопровождающие тесты базируются на технологиях генетического типирования. В будущем могут появиться диагностические тесты, основанные на технологиях визуализации в режиме реального времени, использовании биосенсоров и датчиков физических параметров организма человека.

### ТЕХНОЛОГИЧЕСКАЯ ЭВОЛЮЦИЯ: ЭТАПЫ РАЗРАБОТКИ СОПРОВОЖДАЮЩИХ ДИАГНОСТИЧЕСКИХ ТЕСТОВ



### ЭФФЕКТЫ

- Снижение затрат на разработку инновационных медицинских продуктов.
- Повышение эффективности и безопасности как существующих, так и разрабатываемых препаратов за счет их персонализации.
- Рост качества жизни больных хроническими заболеваниями (онкологическими, аутоиммунными, врожденными).
- Опережающий рост рынка диагностических устройств для домашнего применения.
- Изменение моделей медицинского страхования, переход на оплату медицинских услуг в зависимости от достигнутых результатов профилактики и лечения.

### ОЦЕНКИ РЫНКА

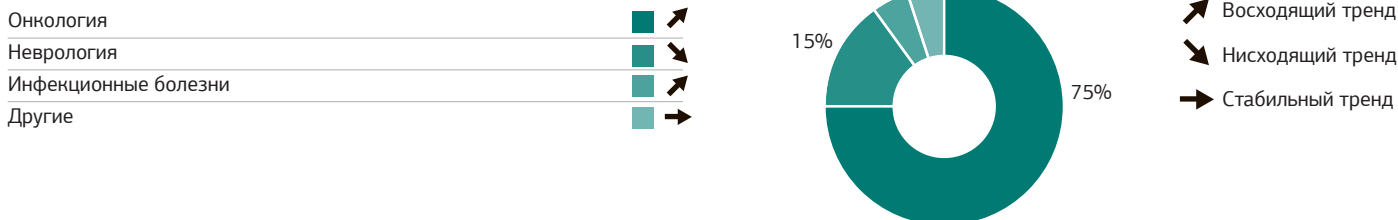
**\$8,7 млрд**

может достичь рынок сопровождающих диагностических тестов в 2018–2020 гг. при среднегодовом темпе роста в 20–29%. Сегодня такие тесты составляют около 10% продаваемых средств персонализированной медицины. Крупнейшие рынки сбыта — США (41–44%) и Европа (38% от общего объема продаж); основной сегмент — онкологические заболевания.

### ДРАЙВЕРЫ И БАРЬЕРЫ

- ⬆️ Признание концепции персонализированной медицины в качестве основы для оказания медицинской помощи.
- ⬆️ Утверждение национальными регуляторами правил, которые облегчают регистрацию лекарственных средств, выводимых на рынок вместе с сопровождающими диагностическими тестами.
- ⊖ Радикальное снижение стоимости и скорости секвенирования генома.
- ⊖ Высокая стоимость лекарств, разрабатываемых для персонализированной медицины.

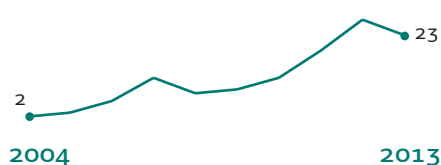
### СТРУКТУРНЫЙ АНАЛИЗ: ОБЛАСТИ ПРИМЕНЕНИЯ СОПРОВОЖДАЮЩИХ ДИАГНОСТИЧЕСКИХ ТЕСТОВ В 2000–2012 ГГ., ДОЛИ В %



### МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПУБЛИКАЦИИ



### МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПАТЕНТНЫЕ ЗАЯВКИ



### УРОВЕНЬ РАЗВИТИЯ ТЕХНОЛОГИИ В РОССИИ

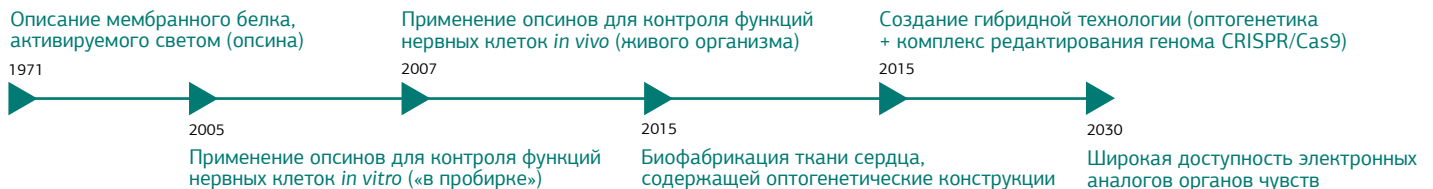
«Задельи»: наличие базовых знаний, компетенций, инфраструктуры, которые могут быть использованы для форсированного развития соответствующих направлений исследований.

## УПРАВЛЕНИЕ КЛЕТКАМИ С ПОМОЩЬЮ ОПТОГЕНЕТИКИ

Для изучения функций органов и систем человеческого организма крайне важно владеть технологией «включения» или «выключения» отдельных клеток. Существующие способы влияния на клеточную активность (фармацевтические субстанции, электростимуляция) неспецифичны, а их применение нередко сопровождается побочными эффектами. Подступиться к изучению функций нейронов и их связи с поведением и когнитивными способностями человека, а также к управлению клетками, контролирующими сердечную деятельность, эндокринную функцию, ответственными за свето- и цветовосприятие, позволила оптогенетика.

Оптогенетика объединила результаты изучения светочувствительных белков, генетическую инженерию и оптику. В результате появилась возможность встраивать в клеточную мембрану белки, которые, активируясь под действием подведенного локально света, начинают контролировать химический состав внутриклеточной жидкости и, соответственно, — функциональную активность клеток. Перспективы экспериментального применения оптогенетики связаны с управлением функциями клеток в режиме реального времени. Программировать этот процесс и осуществлять контроль на клеточном уровне можно будет по беспроводным каналам связи.

### ТЕХНОЛОГИЧЕСКАЯ ЭВОЛЮЦИЯ: ЭТАПЫ РАЗВИТИЯ ТЕХНОЛОГИЙ ОПТОГЕНЕТИКИ ДЛЯ УПРАВЛЕНИЯ КЛЕТКАМИ



### ЭФФЕКТЫ

Развитие технологий генетической инженерии, разработки в области оптики, поиск новых светочувствительных белков с заданными свойствами.

Развитие технологий экспериментального моделирования на животных болезней человека, его поведения, изучения когнитивных способностей.

Появление новых медицинских технологий, основанных на достижениях оптогенетики, для лечения широко распространенных и наследственных заболеваний.

### ОЦЕНКИ РЫНКА

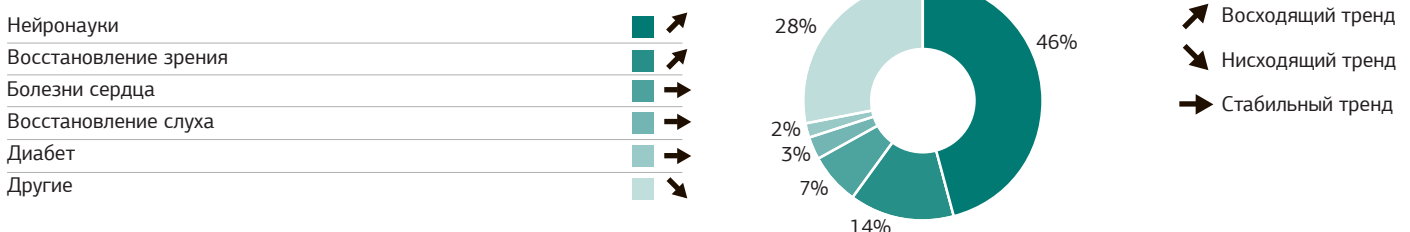
\$53 млрд

может составить в 2020 г. мировой рынок биофотоники (использование света для диагностики, модификации и иных манипуляций с живыми объектами) при среднегодовом темпе роста в 11,3%. Наибольшую динамику рынка связывают с сегментом диагностических средств (17,2% в год). Сегодня самый крупный рынок — США (около 12,5 млрд долларов в 2014 г.).

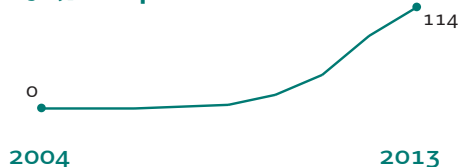
### ДРАЙВЕРЫ И БАРЬЕРЫ

- ⬆️ Разработка источников света для стимуляции клеток мозга из внешних устройств, которая позволит перейти к изучению поведения животных в природных условиях.
- ⬆️ Усовершенствование средств доставки внутрь клетки генетических конструкций, кодирующих светочувствительные белки.
- ⊘ Отсутствие адаптированных технологий для применения оптогенетики у человека.
- ⊘ Нерешенные этические вопросы применения оптогенетики для изучения функций нервных клеток человека и управления ими *in vivo*.

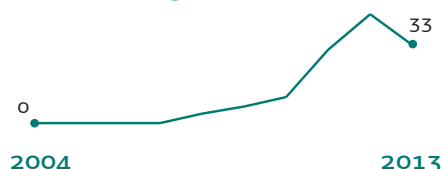
### СТРУКТУРНЫЙ АНАЛИЗ: ТЕМАТИЧЕСКИЕ НАПРАВЛЕНИЯ ИССЛЕДОВАНИЙ В ОБЛАСТИ ОПТОГЕНЕТИКИ В 2010–2014 ГГ., ДОЛИ В %



### МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПУБЛИКАЦИИ



### МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПАТЕНТНЫЕ ЗАЯВКИ



### УРОВЕНЬ РАЗВИТИЯ ТЕХНОЛОГИИ В РОССИИ

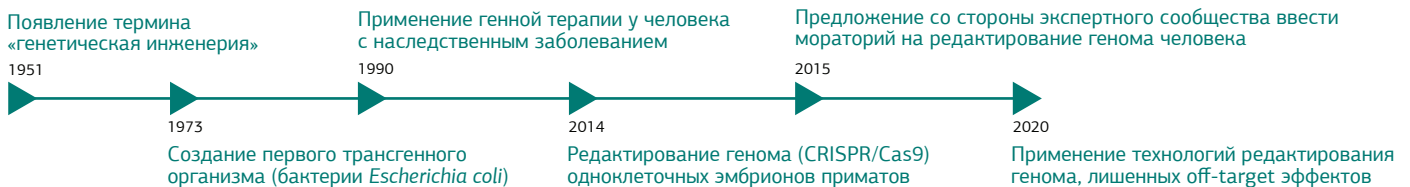
«Задель»: наличие базовых знаний, компетенций, инфраструктуры, которые могут быть использованы для форсированного развития соответствующих направлений исследований.

# ТОЧНОЕ И ТОЧЕЧНОЕ РЕДАКТИРОВАНИЕ ГЕНОМА С ПОМОЩЬЮ ЭНДОНУКЛЕАЗ

Направленно корректировать генетическую информацию стало возможным с появлением технологии рекомбинантной ДНК, а также способов изменения нуклеотидной последовательности генома отдельных клеток. С их помощью создаются генетически модифицированные лабораторные животные и растения, клеточные линии. Однако существующие технологии «громоздки» и дороги, но главное — недостаточно точны (могут вызывать нежелательные модификации структуры ДНК за пределами целевой области).

Для терапевтических целей важно вносить быстрые и точные изменения в нуклеотидную последовательность генома в условиях *in vivo*. В последние 5-7 лет ведутся активные разработки средств модификации генома с использованием ферментов эндонуклеаз (ZFNs, TALEN, CRISPR/Cas9). Они относительно просто синтезируются и отличаются универсальностью — возможностью применения в работах с клетками всех живых организмов, включая клетки человека. Точечные и вместе с тем точные изменения в нуклеотидной последовательности достигаются путем комплементарного связывания белков-«редакторов» с целевым участком ДНК.

## ТЕХНОЛОГИЧЕСКАЯ ЭВОЛЮЦИЯ: ЭТАПЫ РАЗВИТИЯ ТЕХНОЛОГИЙ РЕДАКТИРОВАНИЯ ГЕНОМА



### ЭФФЕКТЫ

Радикальное изменение способов оказания медицинской помощи больным с наследственными заболеваниями.

Разработка новых технологий лечения вирусных инфекций и онкологических заболеваний, последующее снижение их распространенности.

Развитие технологий создания экспериментальных моделей животных.

Прорывы в области функциональной геномики и снижение стоимости исследований в этой области.

Увеличение объемов финансирования биомедицинских исследований за счет мультипликативного эффекта распространения геномных технологий.

### ОЦЕНКИ РЫНКА

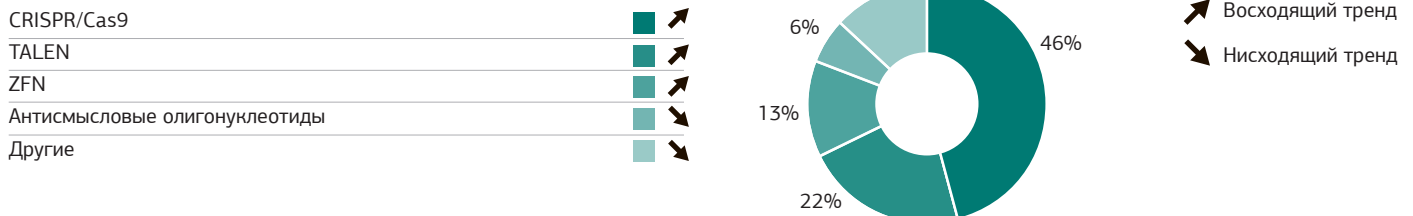
\$3,5 млрд

может составить к 2019 г. глобальный рынок продуктов и услуг по редактированию генома (биомедицинские исследования, сельскохозяйственные технологии, фармацевтика) при среднегодовом росте в 13,8%. Наибольший рост рынка (почти двукратный в период с 2014 по 2019 г.) ожидается в странах Азии (Китай, Япония и др.).

### ДРАЙВЕРЫ И БАРЬЕРЫ

- ↑ Немедицинское применение технологий редактирования генома для улучшения или формирования новых способностей (физических, когнитивных) у человека.
- ↑ Успешное применение технологии генетической инженерии для лечения наследственных (моногенных) болезней человека.
- ⊘ Нерешенные этические вопросы и законодательные ограничения на распространение и использование технологий редактирования генома человека.

## СТРУКТУРНЫЙ АНАЛИЗ: ТЕХНОЛОГИИ РЕДАКТИРОВАНИЯ ГЕНОМА С ПОМОЩЬЮ ЭНДОНУКЛЕАЗ В 2014-2019 ГГ, ДОЛИ В %



### МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПУБЛИКАЦИИ



### МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПАТЕНТНЫЕ ЗАЯВКИ



### УРОВЕНЬ РАЗВИТИЯ ТЕХНОЛОГИИ В РОССИИ

«Задель»: наличие базовых знаний, компетенций, инфраструктуры, которые могут быть использованы для форсированного развития соответствующих направлений исследований.