

ТЕХНОЛОГИИ ТЕРАПЕВТИЧЕСКОГО ПРИМЕНЕНИЯ РНК-ИНТЕРФЕРЕНЦИИ

Многие неизлечимые заболевания возникают в силу патологических изменений генома клеток. Традиционные лекарства недостаточно эффективны при их лечении — из-за низкой специфичности и, в ряде случаев, значительного токсического эффекта на организм. Но главное: они не действуют на саму причину подобного рода заболеваний — соматические мутации генома. Точечно воздействовать на экспрессию генов, прерывая последовательность патологических изменений в клетке, управлять ключевыми механизмами развития, например, онкологических заболеваний могут препараты на основе технологий терапевтического применения РНК-интерференции.

РНК-интерференция — один из основных методов исследования функций генов в культурах клеток и живых организмах — имеет большой терапевтический потенциал. Посредством посттранскрипционного подавления экспрессии генов (когда двухцепочечная РНК индуцирует деградацию гомологичной мРНК) можно воздействовать на уровне синтеза кодируемых ими белков, модулируя таким образом активность генома клеток на любом этапе развития заболеваний, связанных с нарушениями нуклеотидной последовательности. Характерное преимущество технологии — возможность точной локализации терапевтического действия, например, в очаге опухоли.

ЭФФЕКТЫ

Возможность лечения генетически обусловленных болезней, в частности онкологических.

Переход на новые модели медицины, связанные с персонализированным подходом к лечению социально значимых заболеваний.

ОЦЕНКИ РЫНКА

\$4 млрд

может составить к 2017 году объем глобального рынка созданных на основе технологий РНК-интерференции средств биомедицинского назначения и лекарственных препаратов для лечения онкологических, иммунодефицитных и других заболеваний (при сохранении среднегодового темпа роста на уровне 13,6%).

Ведущими игроками на рынке являются США, страны ЕС (преимущественно Великобритания и Франция) и Япония.

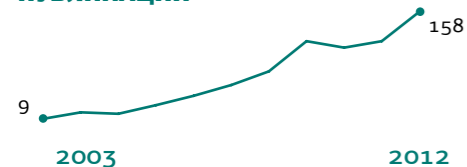
Отдельный сегмент рынка будут занимать реагенты для процедур РНК-интерференции, предназначенных для валидации лекарственных кандидатов и биологических мишеней.

ДРАЙВЕРЫ И БАРЬЕРЫ

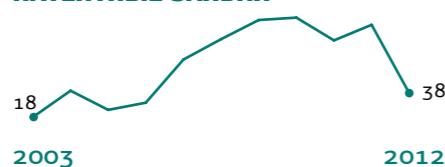
Необходимость использования для терапии ранее неизлечимых заболеваний новых лекарственных средств, обладающих высоким уровнем специфичности, эффективности и безопасности, стимулирует развитие тренда.

Основные барьеры — нерешенные задачи направленной доставки лекарства до органа-мишени; экономические риски в связи с более высокой стоимостью препаратов на основе технологии РНК-интерференции.

МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПУБЛИКАЦИИ



МЕЖДУНАРОДНЫЕ ПАТЕНТНЫЕ ЗАЯВКИ



УРОВЕНЬ РАЗВИТИЯ ТЕХНОЛОГИИ В РОССИИ

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

МЕДИЦИНА И ЗДРАВООХРАНЕНИЕ

МЕДИЦИНА БУДУЩЕГО: ТЕХНОЛОГИИ ГЕНЕТИЧЕСКОЙ ИНЖЕНЕРИИ ДЛЯ СОЗДАНИЯ ВЫСОКОСПЕЦИФИЧНЫХ ЛЕКАРСТВ И ИНСТРУМЕНТОВ МОЛЕКУЛЯРНОЙ ДИАГНОСТИКИ

Повышение качества и продолжительности жизни человека — ключевые приоритеты развитых экономик мира. Для более эффективной профилактики, диагностики и лечения социально значимых заболеваний, а также реабилитации пациентов необходимы технологические прорывы в области биомедицины. Они прежде всего связаны с созданием принципиально новых лекарств, продуктов для клеточной и генной терапии, инструментов высокоспецифичной молекулярной диагностики.

Технологии генетической инженерии — конструирование функционально активных генетических структур, введение их в организм человека, интеграция в геном — позволяют выработать новые, в некоторых случаях уникальные генетические, биохимические и физиологические свойства. Создание новых биофармпрепаратов, культур клеток-продуцентов биологически активных молекул в перспективе обеспечит отечественный рынок доступными инновационными лекарствами и средствами диагностики.

В настоящем выпуске информационного бюллетеня представлены три технологических тренда, с развитием которых уже через 5-7 лет появятся разработки в области генно-инженерного конструирования лекарств, перепрограммирования клеток человека и терапевтического применения РНК-интерференции, имеющие высокие перспективы выхода на массовые рынки.

Трендлеттер 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
- Передовые производственные технологии
- Энергоэффективность и энергосбережение

В следующем номере:
Новые материалы и нанотехнологии

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 трендлеттера 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, strategyr.com, researchandmarkets.com, grandviewresearch.com, transparencymarketresearch.com 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

ГЕНО-ИНЖЕНЕРНОЕ КОНСТРУИРОВАНИЕ ЛЕКАРСТВ

Для эффективного лечения многих болезней, в первую очередь иммунной природы, требуются точечные воздействия, иногда на уровне отдельных клеток. Создание мишень-ориентированных препаратов, в том числе конъюгированных и ДНК-вакцин, повысит эффективность лечения онкологических, ревматических, инфекционных заболеваний, а также болезней нервной системы.

Первое направление развития тренда связано с применением рекомбинантной ДНК для получения биологических продуктов с заданными терапевтическими свойствами и высокими показателями биодоступности и специфичности действия. В результате появятся новые лекарства, эффективные при заболеваниях, вызванных нарушениями иммунной системы.

Создание диагностических биосенсоров — другое направление использования терапевтических клеточных продуктов и специфических молекулярных фрагментов, получаемых на основе технологий генетической инженерии. Эти решения могут повысить диагностическую ценность портативных тестов, выводимых на рынок медицинских изделий для «домашней медицины».

ЭФФЕКТЫ

Снижение заболеваемости и смертности от онкологических, ревматических, аутоиммунных заболеваний.

Развитие персонализированной медицины, основанной на использовании генно-инженерных лекарственных средств и диагностических процедур с высокой степенью индивидуализации к пациенту.

ОЦЕНКИ РЫНКА

\$497 млрд

может достичь к 2020 году объем мирового рынка биопрепаратов при сохранении среднегодового темпа роста на уровне 13,5%. Он будет развиваться в направлении разработки моноклональных антител, рекомбинантного человеческого инсулина, факторов роста и др. Объем рынка продуктов молекулярной диагностики (онкология, наследственные болезни, инфекционные заболевания и др.) может достичь 8 млрд долларов при среднегодовом темпе роста не менее 9,9%.

ДРАЙВЕРЫ И БАРЬЕРЫ

Возрастающая потребность в эффективных и высокоспецифичных методах профилактики, диагностики и терапии социально значимых заболеваний, развитие биофармтехнологий, постепенно сменяющих традиционные фармацевтические практики с применением химических субстанций, выступают основными драйверами тренда.

Сдерживают его развитие конкуренция с рынком традиционных лекарственных препаратов и вакцин, а также относительно высокая стоимость генно-инженерных лекарственных препаратов.

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.

ПЕРЕПРОГРАММИРОВАНИЕ КЛЕТОК ЧЕЛОВЕКА

Технологии направленного перепрограммирования стволовых и модификации дифференцированных клеток дают возможность исследовать их свойства, получать клетки с новыми функциональными характеристиками. На этой основе разрабатываются технологии регенеративной медицины, нацеленные на восстановление травмированных или пораженных болезнью тканей и утраченных физиологических функций.

В русле данного тренда активнее всего развиваются следующие технологии: манипуляции геномом клеток разного уровня дифференцировки и использование негеномных средств их перепрограммирования, включая рентгеновское облучение; моделирование процессов регенерации, стресс-индуцированная трансформация и др.

Эти технологии составляют базу для разработки биомедицинских клеточных продуктов (минимально манипулированные клетки, препараты на основе нуклеиновых кислот и стромально-клеточной фракции), а также продуктов культивирования модифицированных клеток.

ЭФФЕКТЫ

Развитие персонализированной медицины.

Более эффективное лечение сердечно-сосудистых заболеваний и болезней нервной системы, ожогов и др.; сокращение периода реабилитации пациентов.

Сокращение экономических потерь вследствие высокой заболеваемости и инвалидности.

ОЦЕНКИ РЫНКА

\$26 млрд

составляет объем мирового рынка клеточной терапии. К 2019 году он может достичь 119,5 млрд долларов при сохранении среднегодового темпа роста на уровне 24,2%.

На российском рынке представлены, в основном, услуги по сбору и хранению стволовых клеток. В будущем ожидается высокий спрос на аутологичные клеточные продукты.

ДРАЙВЕРЫ И БАРЬЕРЫ

Драйвером тренда является потребность в эффективных средствах для регенеративной и клеточной медицины.

Барьер — возможные риски злокачественного перерождения перепрограммированных соматических клеток.

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.