



ΠΡΟΣΦΑΤΑ ΠΑΡΑΔΕΙΓΜΑΤΑ ΕΓΚΡΙΣΗΣ ΚΑΙΝΟΤΟΜΩΝ ΘΕΡΑΠΕΥΤΙΚΩΝ ΜΟΡΙΩΝ

Σταύρος ΤΟΠΟΥΖΗΣ, Τμήμα Φαρμακευτικής, Παν/μιο Πατρών

Η πρόοδος στην φαρμακευτική αντιμετώπιση ασθενειών προσμετράται με την αυξανόμενη αποτελεσματικότητα, που οφείλεται εν πολλοίς στην έγκριση νέων φαρμάκων. Μερικά απο αυτά χαρακτηρίζονται ως «το πρώτο φάρμακο μίας νέας κατηγορίας» (first-in-class), όπως ήταν π.χ. η Συμβαστατίνη ή η Αλτεπλάση.

Τα φάρμακα first-in class θεωρούνται *καινοτόμα*, διότι ενεργούν με ένα εντελώς νέο μηχανισμό δράσης ή στοχεύουν ένα νέο μόριο-στόχο που δεν είχε επιτυχώς στοχευτεί και έτσι προσφέρουν νέες δυνατότητες μονοθεραπείας ή συνδυασμένης θεραπείας.

Θα γίνει αναφορά σε ένα μικρό αριθμό καινοτόμων φαρμάκων που εγκρίθηκαν τα τελευταία 2 χρόνια ή επίκειται η έγκρισή τους, με κριτήρια επιλογής τον αναμενόμενο μεγάλο αριθμό ασθενών που θα ωφεληθούν απ' αυτά και την πιθανή ριζική βελτίωση της πορείας των αντίστοιχων ασθενειών. Μεταξύ αυτών:

Το Sofosbuvir έχει ως στόχο δράσης την πολυμεράση NS5B του ιού της ηπατίτιδας C (HCV). Αναστέλλοντας αυτό τον νέο στόχο, προκαλεί παντελή απομείωση του ιϊκού φορτίου και θεωρείται ότι επιφέρει πλήρη αποθεραπεία, ειδικά όταν συγχορηγηθεί με άλλα φάρμακα που δρουν κατά της HCV.

Το Riociguat είναι το πρώτο μόριο που δρα διεγείροντας την διαλυτή γουανυλική κυκλάση (sGC) που περιέχει οξειδωμένη αίμη, όπως παρατηρείται σε χρόνια καρδιοπνευμονικά νοσήματα. Το μόριο αυτό έχει εγκριθεί για χρήση στην πνευμονική αρτηριακή υπέρταση και είναι το πρώτο εγκεκριμένο φάρμακο για αντιμετώπιση χρόνιας θρομβοεμβολικής πνευμονικής υπέρτασης.

Το Pembrolizumab είναι το πρώτο αντίσωμα που εντάσσεται στην φαρμακευτική ανοσοθεραπεία του καρκίνου, μίας θεραπευτικής προσέγγισης που είναι σε πλήρη ανάπτυξη, με αναμενόμενα τεράστια θεραπευτικά οφέλη. Έχει λάβει έγκριση για χρήση σε προχωρημένες μορφές μελανώματος. «Απενεργοποιεί» τον ανοσοκατασταλτικό υποδοχέα programmed death-1 (PD-1) των T-κυττάρων, επάγοντας έτσι ισχυρότερη ανοσολογική απόκριση κατά των καρκινικών κυττάρων.

Το Blinatumomab (bispecific CD19-directed CD3 T-cell engager) είναι το πρώτο αντίσωμα με διττή εκλεκτικότητα. «Συνδέει» τα B-κύτταρα (μέσω CD19) με τα T-κύτταρα (μέσω CD3), εκκινώντας ισχυρή ενδογενή «ανοσοθεραπευτική» αντινεοπλαστική δράση. Εγκρίθηκε για χρήση στην οξεία B-κυτταρική λεμφοβλαστική λευχαιμία (B-cell ALL).

Το αντίσωμα Alirocumab απενεργοποιεί το ένζυμο proprotein convertase subtilisin-kexin type 9 (PCSK9), που καταβολίζει τον υποδοχέα της LDL. Με αυτόν τον τρόπο, χορηγούμενο μαζί με στατίνη, μειώνει τα επίπεδα της LDL-χοληστερόλης μέχρι και 60% και φαίνεται να αποτρέπει τις καρδιαγγειακές επιπτώσεις της νόσου. Αναμένεται έγκρισή του εντός του 2015.

Υπάρχει η βάσιμη ελπίδα ότι τα καινοτόμα αυτά φάρμακα θα αυξήσουν ριζικά την αποτελεσματικότητα της αντιμετώπισης των αντίστοιχων νόσων, επιμηκύνοντας το προσδόκιμο ζωής και βελτιώνοντας την ποιότητα της ζωής των ασθενών.