

Vývoj inhibitoru FGFR3 pro léčbu kosterní dysplázie

NV18-08-00567

Řešitel: RNDr. Pavel Krejčí, Ph.D.

Příjemce: Fakultní nemocnice u sv. Anny v Brně

Spolupříjemce: Univerzita Karlova, 2. lékařská fakulta

Spolupracovníci: Mgr. Michaela Bosaková, Ph.D.; Mgr. Bohumil Fafílek, Ph.D.; Mgr. Miroslav Vařecha, Ph.D.

Aktivující mutace v receptoru FGFR3 způsobují nejrozšířenější genetickou formu kostní dysplázie, tzv. achondroplázii. Léky v současné době používané pro terapii achondroplázie mají pouze omezený efekt kvůli vzniku rezistence, což vede k nutnosti vyvinout nové léčebné přístupy. Hlavním cílem projektu bylo vyvinout novou terapii.

Prvotní experimenty, provedené v roce 2017, ukázaly účinnou inhibici funkce FGFR3 pomocí RNA aptameru, malé RNA molekuly vyvinuté proti jednomu z přirozených aktivátorů FGFR3, růstovému faktoru jménem FGF2. V rámci projektu byla vyvinuta nová terapie achondroplázie, která je nyní testována ve druhé fázi klinických studií. Byly popsány dva nové mechanismy funkce FGFR3 v rostoucí kosti a charakterizována molekulární patologie tří nových kostních dysplázií. Grant podpořil celkem 11 původních vědeckých studií, publikovaných v předních periodikách; 6 studií vedla laboratoř Krejčího a zapojilo se do nich více než 70 vědců z celého světa. Projekt umožnil užší spolupráci s americkými vědci z Kalifornské univerzity v Los Angeles (UCLA); celkem 8 článků bylo publikováno společně s vědci z UCLA.

Získané výsledky ovlivní celosvětovou vědeckou a lékařskou komunitu zabývající se kostní dysplázií, a mohou vést k úspěšné léčbě achondroplázie. Je možné, že výsledky uskutečněného bádání pomohou k lepší kvalitě života stovkám tisíců dětí, které dnes na světě trpí achondroplázií.

Zdroj: brožura MZ ČR vydaná u příležitosti udílení Ceny ministra zdravotnictví za zdravotnický výzkum a vývoj, 2023