

## A rossz prognózisú gyermekkori szolid tumorokra prediszponáló mutációk szűrése és biomarkerek azonosítása az egyénre szabott kezelésük optimalizálására

A pályázat azonosítója: NVKP\_16-1-2016-0037

Résztvevők: Semmelweis Egyetem  
Magyar Tudományos Akadémia Természettudományi Kutatóközpont  
Meditop Gyógyszeripari Korlátolt Felelősségű Társaság

Teljes költségvetés: 588 589 615 Ft

Elnyert támogatás: 564 716 666 Ft

A 14 évnél fiatalabb korosztályban a halálokok között az első helyen a gyermekkori rosszindulatú betegségek állnak. Miközben a hematológiai kezelések ma már a teljes gyógyulást is biztosíthatják, a szolid tumorok terén a betegek felét elveszítjük tíz éven belül. A kutatás során a Semmelweis Egyetem II. Sz. Gyermekgyógyászati Klinikán az elmúlt 10 év folyamán diagnosztizált szolid tumoros betegek mintájából leszekvenáltuk azokat a géneket, amelyek vagy a tumorok kialakulásával kapcsolatba hozhatóak, vagy pedig rendelkezünk rá célzott terápiás gyógyszerrel. Ezután a gyakori mutációk terén leginkább érintett génekhez nagyszámú, klinikailag és genetikailag karakterizált felnőttminta alapján meghatároztuk a legnagyobb eltérést mutató fehérjecélpontokat. Az MTA Természettudományi Kutatóközpont Gyógyszerkémiai

Kutatócsoportjában az e célpontokon ható, legalább fázis I-es vizsgálaton átesett gyógyszerjelöltet állítottunk elő, és ezeket a Fehérje-kölcsönhatás Kutatócsoportban farmakológiai jellemztük. Jelenleg a II. Sz. Gyermekgyógyászati Klinikán sejtkultúrákban megvizsgáljuk, hogy az adott mutációval rendelkező sejtvonalakon a gyógyszerjelöltek rendelkeznek-e a tumorok növekedését gátló hatással. A legígéretesebb molekulá(ka)t a Meditop Gyógyszergyár biztosítja egy fázis II-es klinikai vizsgálathoz szükséges mennyiségben és minőségben. A projekt során új ismereteket fogunk szerezni a szolid tumorok kialakulásával kapcsolatban a molekuláris és epidemiológiai adatok összekapcsolásával. Összefoglalva: célunk a legrosszabb prognózissal rendelkező gyermekkori szolid tumoros betegek klinikai kilátásainak javítása.