

Projekt azonosító száma: 2024-1.2.3-HU-RIZONT-2024-00055

Projekt címe: Az autoimmun hólyagos bőrbetegségek új célzott terápiáinak fejlesztését megalapozó preklinikai vizsgálatok

Kedvezményezett: Semmelweis Egyetem

A projekt megvalósításának kezdete: 2025.05.01.

Támogatás összege: 400 000 000 Ft

A pemphigoid betegségek ritka autoimmun hólyagos bőr- és nyálkahártya-betegségek, amelyek közül a leggyakoribb a főként időseket érintő bullosus pemphigoid. A jelenlegi kezelések elsősorban szisztémás immunszuppresszió alapulnak, amely súlyos, akár életveszélyes mellékhatásokkal járhat. A betegség patogenezisének korlátozott ismerete miatt jelenleg nem állnak rendelkezésre célzott terápiák.

Egy új kutatási projekt célja a pemphigoid betegségek molekuláris hátterének mélyebb feltárása, különös tekintettel a tirozin-kinázok és a komplement-komponensek szerepére. Előzetes eredmények alapján ezek a tényezők kulcsszerepet játszhatnak a betegség kialakulásában, így ígéretes terápiás célpontok lehetnek.

A kutatás átfogó genetikai és farmakológiai megközelítést alkalmaz, humán betegminták és in vivo egérmodellek felhasználásával. A projekt keretében különböző gyógyszerjelölteket vizsgálnak, miközben számos új technológiát fejlesztenek és alkalmaznak. Ezek közé tartoznak új transzgenikus egérmodellek, humán iPSC-eredetű immunsejtek elemzése, valamint CRISPR/Cas9-alapú funkcionális szűrések emberi és egér sejtekben.

A vizsgálatok célja a kulcsfontosságú molekuláris mechanizmusok tisztázása, amely megalapozhatja új klinikai vizsgálatok elindítását. A projekt várhatóan hozzájárul új terápiás célpontok azonosításához és innovatív gyógyszerfejlesztési megközelítések kidolgozásához.

A kutatást egy gyulladáskutatásban és nemzetközi együttműködésekben tapasztalt alapkutató és egy vezető klinikai bőrgyógyász irányítja. Munkájukat az elméleti és klinikai dermatológia meghatározó szakemberei, valamint a humán iPSC sejtek nemzetközi szakértői támogatják.

A projekt eredményei várhatóan nemcsak a pemphigoid betegségekben szenvedő betegek számára hoznak előrelépést, hanem a dermatológiai kutatás, a fiatal kutatók képzése, valamint a gyógyszeripari és biotechnológiai fejlesztések számára is jelentős haszonnal járnak. A megvalósítást széleskörű előzetes eredmények és aktív nemzetközi együttműködések alapozzák meg.

