

Titolo della Relazione: **Le Biotecnologie nella produzione dei farmaci.**

Relatore: Prof. Santi Spampinato

Abstract:

All'inizio degli anni '80 con la diffusione delle conoscenze in biologia molecolare, si verificò un passaggio fondamentale sia nella ricerca che nello sviluppo di farmaci. Le tecnologie rese disponibili dalla biologia molecolare consentirono di elaborare nuove ipotesi sui meccanismi biologici alla base delle malattie. Di conseguenza vennero identificati nuovi obiettivi biologici a livello molecolare per la ricerca di farmaci. In parallelo, usando le tecniche del DNA ricombinante si riuscirono ad introdurre geni in grado di codificare proteine di interesse farmacologico (ad es. insulina, interferone- α , ormone della crescita) in microrganismi semplici come l'*Escherichia Coli*, col risultato finale della produzione di quantità elevate di proteine umane. Ci sono vari approcci per progettare farmaci con le biotecnologie. Il più immediato è stato quello di produrre molecole normalmente presenti nell'organismo e che si ipotizzano siano assenti o deficitarie in determinate malattie (ad es. l'insulina per il diabete o il fattore VIII nell'emofilia). Altre proteine possono assumere un'importanza nell'eziopatogenesi di malattie, quindi dalle conoscenze dei processi molecolari alla base di patologie si formula l'ipotesi che la proteina stessa possa avere una funzione terapeutica in determinate condizioni: ad es. l'interferone- α in infezioni virali o l'eritropoietina nelle anemie. Così con l'ingegneria genetica si modifica il genoma di batteri (*E.Coli*), di lieviti (*S.Cerevisiae*) o di linee cellulari di mammifero per introdurre il gene umano che codifica la proteina d'interesse ed ottenere la produzione di grandi quantità. Altri approcci con ampie prospettive in campo terapeutico sono poi emersi con l'approfondimento dei meccanismi che regolano l'espressione genica oltre che le funzioni di singoli geni. La terapia basata sull'uso di oligonucleotide antisense è in fase di sviluppo per varie patologie (alcuni tipi di tumori, l'AIDS, la retinite da CMV e le malattie infiammatorie), così come la terapia genica applicata soprattutto ai tumori ed alle patologie cardiovascolari.