

Engedélyezték a genetikailag módosított kecskék tejéből kivont véralvadásgátló gyógyszer európai forgalmazását

Simon Vamás

Az eredeti dokumentum megalátható:

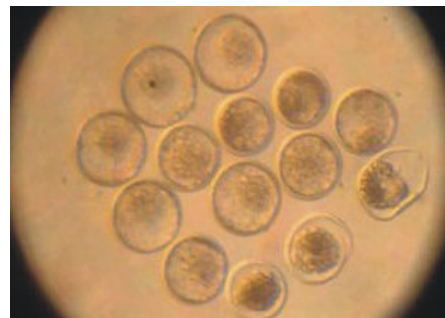
<http://www.emea.eu.int/pdfs/general/direct/pr/20316306en.pdf>

Amint arról idén februárban már beszámoltunk, az Európai Gyógyszerügynökség (*European Medicines Agency*, EMA) a hozzájuk benyújtott adatok első elemzését követően nem engedélyezte, hogy a gyakorlatban is alkalmazzák azt az eljárást, amelynek során kecskékkal termeltetnének egy rendellenes véralvadással járó betegség kezelésében alkalmazott emberi fehérjét. Az akkori indoklás szerint a gyógyszer jövőbeli alkalmazásának előnyei nem voltak elég meggyőzőek a lehetséges veszélyekkel szemben, illetve keveselltek azoknak a betegeknek a számát is, akiket kezelni lehetne az új gyógyszerrel (a rendellenesség az Egyesült Királyságban körülbelül minden ötödik személyt érint).

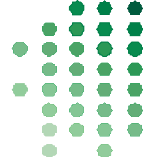


Az adatok újabb széleskörű elemzése után azonban az EMA-képviselői felülbírálták korábbi döntésüket, és 2006. június 2-án mégis megadták az engedélyt a gyógyszer piaci forgalmazására (<http://www.emea.eu.int/pdfs/general/direct/pr/20316306en.pdf>), így az nemsokára bármelyik, megfelelően felszerelt európai kórházban hozzáférhető lesz. Az új fajta véralvadásgátló lesz tehát a világon az első olyan gyógyszer, amelyet genetikailag módosított állatok termelnek. (Genetikailag módosított (GM) organizmusnak az olyan élőlényeket nevezzük, amelyekbe mesterséges úton egy idegen, más fajtól származó gént visznek be).

A GTC Biotherapeutics nevű cég farmján élő ötvenhét kecske ránézésre semmiben sem különbözik közönséges társaitól, azonban genetikai állományukba egy emberi eredetű DNS-szakaszt is beépítettek. **Ez a gén az anti-thrombin (AT) nevű véralvadásgátló fehérjét kódolja, amely megakadályozza az erekben a vérrögök képződését.** Másfél évtizeddel ezelőtt a biotechnológiai cég kutatói elkészítették az emberi AT-gén másolatát, majd egy olyan, kecskéből származó DNS-darabhoz (ún. promóterhez) illesztették, amely azért felelős, hogy a gén csak az állatok tőgyének tejtermelő sejtjeiben működjön (expresszálódjon), vagyis a szervezetben egyedül ezek a sejtek termelik a fehérjét. Az így létrehozott DNS-szakaszt ezután kecskék petesejtjeibe juttatták, amely a mesterséges megtermékenyítést követően beépült az állatok genetikai állományába. A fejlődő embriókat pótyanyába ültették, hat hónappal később pedig megszülettek a genetikailag módosított utódok.



Kecske embriók



Az új gyógyszer azokon a betegeken segíthet majd, akiknél születésük óta hiányzik az anti-thrombin gén egyik másolata. Ezek a személyek nem képesek megfelelő mennyiségben termelni a gén által kódolt véralvadás-gátló fehérjét, ami védtelenné teszi őket a vérrögök keletkezésével szemben. Ezeket a betegeket általában különféle vérhígító gyógyszerekkel kezelik, de szüléskor vagy komolyabb sebészeti beavatkozások esetén anti-thrombint adnak nekik. **Az állati eredetű gyógyszer nagy előnye a vérplazmából nyert fehérjével szemben, hogy egy genetikailag módosított**

kecske előállítására mindössze 18 hónapot veszigénybe, és egyetlen kecske egy év alatt 90 000 emberi vérplazma-gyűjteményben található fehérjének megfelelő mennyiséget képes termelni.

A kecskék nem az egyedüli génmódosított állatok, amelyeket gyógyászati célú kutatásokra is alkalmaznak. Már léteznek olyan genetikailag módosított tehén, amelyek az antibakteriális tulajdonságú laktoferrin nevű fehérjét képesek termelni, és olyan nyulak is, amelyek az öröklődő angioödéma kezelésére alkalmas anyagot állítanak elő. **Magyarországon a gödöllői Mezőgazdasági Biotecnológiai Központban foglalkoznak gyógyszerhatású fehérjék GM-nyulak tejében történő termeltetésével. Bősze Zsuzsanna és munkatársai úgynevezett máj-vese-csont-típusú alkalikus foszfatázt termeltettek ilyen módon, amelynek mennyisége százszorosa a normál humán savóban levőének. E fehérje rokonairól már bebizonyosodott, hogy hatásosak a vérmérgezés egyes típusai elleni védelemben. A nyúltejben termelt alkalikus foszfatáz hatékonyságának bizonyítására még további kísérletekre lesz szükség.**