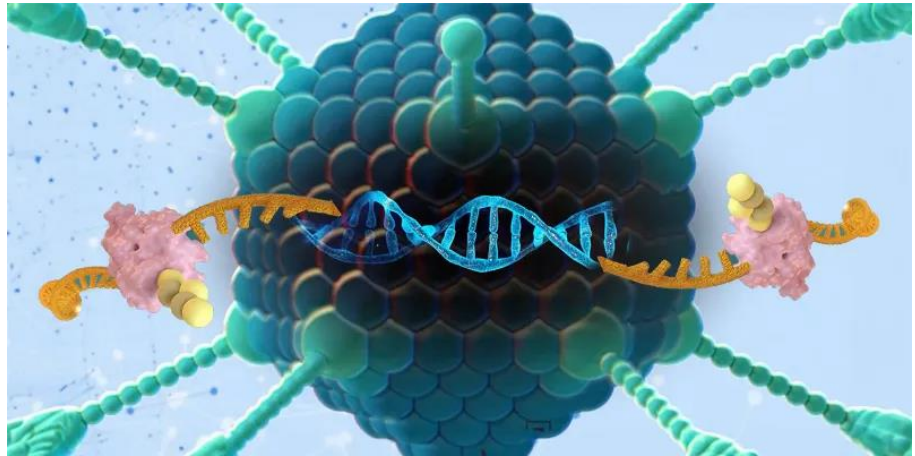


دکتر مریم اسلامی

پزشک و دکتری تخصصی ژنتیک

در یک درمان مبتنی بر RNA توسط شرکت Rznomics تاییدیه FDA را برای سرطان کبد دریافت کرد.



Rznomics تاییدیه FDA را برای داروی RZ-001 دریافت کرده است که یک درمان جدید مبتنی بر RNA برای سرطان کبد است.

این دارو از ویرایش پیشرفته RNA برای هدف قرار دادن و سرکوب رشد سرطان استفاده می کند که در مطالعات پیش بالینی امیدوارکننده است.

شرکت بیوداروسازی کره جنوبی Rznomics Inc. اعلام کرده است که درمان جدید مبتنی بر RNA ، RZ-001 ، که برای درمان سرطان کبد (HCC) طراحی شده است، توسط سازمان غذا و داروی ایالات متحده به عنوان دارو تایید شده است و همچنین

Rznomics با Roche برای مطالعه اثربخشی RZ-001 در ترکیب با atezolizumab همکاری می کند.

RZ-001 یک ریبوزیم ترانس اسپلایسینگ است که از اینترون گروه **Tetrahymena** مشتق شده است و ویژگی های منحصر به فردی را ارائه می دهد که آن را از سایر رویکردهای ویرایشی مبتنی بر اسید نوکلئیک متمایز می کند.

این فناوری شامل یک مولکول **RNA** منفرد است که هم قادر به سرکوب بیان **RNA** هدف و هم بیان همزمان **RNA** درمانی است و به طور بالقوه نیاز به پروتئین ها یا کوفاکتورهای اضافی را از بین می برد.

ایمنی با القای انتخابی بیان **RNA** درمانی تنها در سلول هایی که ژن هدف بیان می شود و با تنظیم بیان متناسب با سطوح **RNA** هدف سلولی درون زا افزایش می یابد.

نکته مهم این است که ویرایش در سطح **RNA** رخ می دهد و از نگرانی در مورد سمیت ژنومی و تغییرات دائمی ژنوم جلوگیری می کند.

سئونگ ووک لی، مدیر عامل و بنیانگذار **Rznomics**، نسبت به نامگذاری داروی م ابراز اشتیاق کرد و اظهار داشت: "این نامگذاری دارو بر پتانسیل خط لوله ما برای رسیدگی سریع به نیازهای پزشکی فعلی برآورده نشده بیماران مبتلا به سرطان کبد تاکید می کند".

RZ-001 به طور خاص فعالیت ضد **HCC** موثری را با سرکوب انتخابی بیان **hTERT** در سلول های سرطانی نشان می دهد و با بستن یک توالی کدکننده **HSVtk** به **mRNA** **hTERT** در حالت ترانس و دوباره برنامه ریزی شده، اثر سایتوتوکسیک را القا می کند. این رویکرد نوآورانه نتایج امیدوارکننده ای را در مدل های حیوانی پیش بالینی نشان داده است که باعث القای نفوذ سلول های ایمنی به تومورهای **HCC** می شود.

Rznomics تاییدیه‌های دارویی جدید تحقیقاتی فاز I/IIa (IND) را برای RZ-001 در سرطان سلول‌های کبدی از FDA و وزارت ایمنی غذا و داروی کره جنوبی (MFDS) دریافت کرده است.

این شرکت قصد دارد یک مطالعه افزایش / افزایش دوز را برای بررسی ایمنی، تحمل و اثربخشی RZ-001 در بیماران HCC بدون متاستاز خارج کبدی انجام دهد.

علاوه بر این، Rznomics تاییدیه‌های IND فاز I/IIa را برای RZ-001 در گلیوبلاستوما مولتی‌فرم (GBM) در کره جنوبی و ایالات متحده با نام‌گذاری Fast Track دریافت کرده است.

در توسعه بیشتر، Rznomics یک قرارداد همکاری بالینی HCC با

La Roche Ltd F. Hoffmann برای مطالعه RZ-001 در ترکیب با atezolizumab Roche منعقد کرده است.

این همکاری تعهد Rznomics به پیشبرد درمان‌های نوآورانه برای سرطان کبد را برجسته می‌کند.

<https://healthandpharma.net/rznomics-rna-therapy-fda-orphan-drug-liver-cancer>