

Cicavčí cieľ rapamycínu (mTOR, mammalian target of rapamycin) je serin/threoninová kináza, ktorá reguluje bunkový rast, proliferáciu, metabolizmus a prežitie. mTOR dráha v sebe integruje stimuly rastových faktorov, živín a energetického stavu bunky a vedie k aktivácii Akt, 4E-BP1 a S6K. Fosforylácia 4E-BP1 a S6K smeruje k zvýšenej syntéze proteínov ako aj zvýšenej tvorbe ribozómov a hrá dôležitú úlohu v postupe bunkového cyklu. Zvýšenú aktivitu mTOR dráhy je možné pozorovať v rôznych typoch rakovín, vrátane akútnej myeloidnej leukémie (AML, acute myeloid leukemia) a akútnej lymfoblastickej leukémie (ALL, acute lymphoblastic leukemia), ktoré sú obe charakteristické neprirodzenou proliferáciou bielych krviniek a nízkou mierou prežitia pacientov.

Sú používané tri rôzne prístupy na inhibíciu mTOR dráhy, pričom sa líšia mierou úspešnosti a štádiom výskumu. Rapamycin a jeho deriváty sú najčastejšími inhibítormi, ale keďže nie sú jednoznačne špecifické, neponúkajú žiadané výsledky. Dvojaké inhibitory cielené na mTOR ako aj PI3K dráhu dosiahli niekoľko úspechov v pôsobení na AML a ALL bunky. Avšak nová generácia inhibítorov ako napríklad PP-242 alebo Torin-1 vykazujú najsľubnejšie výsledky s ohľadom na inhibíciu mTOR dráhy a dlhodobý ústup akútnej leukémie.