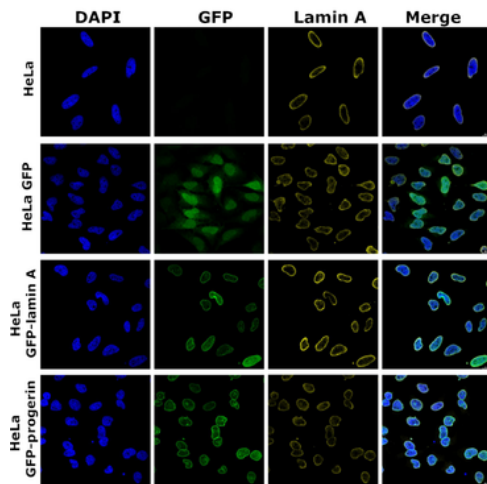




Analiza za pomocą mikroskopii fluorescencyjnej komórek HeLa bez nadprodukcji białek fluorescencyjnych oraz z nadprodukcją GFP, GFP-laminy A lub GFP-progeryny. Barwienie immunofluorescencyjne zostało przeprowadzone za pomocą przeciwciał pierwszorzędowych rozpoznających laminę A

Centrum Transferu Technologii Uniwersytet Wrocławski

✉ ctt@uwr.edu.pl
☎ +48 71 375 2890

INNOWACYJNOŚĆ

- stosowanie niemodyfikowanych nukleotydów zmniejsza ryzyko występowania reakcji ze strony układu immunologicznego w potencjalnej terapii
- prostszy i tańszy proces syntezy

KOMERCJALIZACJA

Licencja

OCHRONA

Wynalazek jest chroniony zgłoszeniem patentowym UPRP o nr P.441326

UPRAWNIENY

Uniwersytet Wrocławski

Sekwencje kwasu nukleinowego wyciszające ekspresję progeryny i ich zastosowanie w terapii progerii Hutchinsona-Gilforda

OPIS WYNALAZKU

Progeria Hutchinsona-Gilforda (HGPS) to choroba genetyczna powstająca najczęściej na skutek mutacji punktowej w genie *LMNA*, kodującego białko otoczki jądrowej - laminę A i laminę C. U pacjentów z HGPS powstaje krótsza wersja laminy A, nazywana "progeryną". Akumulacja progeryny przy błonie jądrowej zaburza organizację otoczki jądrowej oraz prowadzi do zaburzenia organizacji chromatyny, morfologii jąder komórkowych i działania ścieżek sygnałowych. Rozwiązaniem problemu według wynalazku, wyciszenie ekspresji progeryny za pomocą małych interferujących RNA (siRNA), rozpoznających specyficznie mRNA progeryny, a nie prelaminę A.

MOŻLIWE WYKORZYSTANIE

Przedstawione w zgłoszeniu patentowym sekwencje **efektywnie obniżają poziom progeryny** w badanym modelu komórkowym oraz **nie obniżają poziomu endogennych laminy A i C**. Stosowanie niemodyfikowanych oligonukleotydów zmniejsza ryzyko występowania reakcji ze strony układu immunologicznego w potencjalnej terapii, w porównaniu do zastosowania chemicznie modyfikowanych sekwencji oligonukleotydowych. Ponadto proces syntezy takich związków jest prostszy i tańszy, co oznaczałoby że takie rozwiązanie byłoby finansowo korzystniejsze dla beneficjentów terapii.

POZIOM GOTOWOŚCI

TLR 4

Weryfikacja laboratoryjna technologii

