

Projekt 3.8 Przygotowanie i projektowanie stabilnych linii komórkowych do produkcji modyfikowanych wirusów i cząsteczek wirusopochodnych

Promotor: prof. dr hab. Maciej Wojtkowski / dr Andrzej Foik

Instytut: Instytut Chemii Fizycznej PAN

Zespół: Zespół 3. Optyka Fizyczna i Biofotonika - prof. dr hab. Maciej Wojtkowski

www: <https://icter.pl>

Opis:

Poważne zaburzenie wzroku dramatycznie wpływa na życie osób dotkniętych chorobą, utrudniając codzienne czynności i prowadząc do utraty niezależności. Do tej pory stosowano różne podejścia do przywracania niektórych funkcji wzrokowych u pacjentów dotkniętych chorobą, głównie organoidy siatkówki pochodzenia ludzkiego i terapie genowe. Pierwsza bezpośrednio podawana terapia genowa oparta na wirusie towarzyszącym adenowirusom (AAV), zatwierdzona przez amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków (FDA), Luxturna, znacznie poprawiła widzenie pacjentów z dystrofią siatkówki przy słabym oświetleniu. Niemniej jednak nadal istnieją trudności z przywróceniem widzenia w wysokiej rozdzielczości, które należy przezwyciężyć. Celem tego projektu jest opracowanie nowatorskiego podejścia opartego na weryfikacji koncepcji dostarczania genów terapeutycznych przy użyciu zmodyfikowanego wirusa wścieklizny jako wektora swoistego dla komórek dwubiegunowych. Sugerujemy, że specyficzne ukierunkowanie populacji komórek, które przeżyły w zdegenerowanej siatkówce, zwłaszcza komórek dwubiegunowych (BC) przez naszego zmodyfikowanego wirusa wścieklizny (RV) lub cząsteczek pseudowirusowych, pseudotypowanych różnymi białkami otoczki, może stanowić nową strategię terapii genowej w chorobach siatkówki. Jesteśmy głęboko przekonani, że proponowane podejście w zastosowaniu wektora wirusowego może znacznie zwiększyć liczbę komórek, do których, dostarczona zostanie cała grupa opsyn bramkowanych światłem w celu przywrócenia wzroku.

Cel projektu:

Celem tego projektu jest opracowanie linii komórkowych, które posłużą do produkcji zmodyfikowanych i specyficznych wirusów wścieklizny oraz cząsteczek pseudowirusowych.

Wymagania:

- doświadczenie w pracy z różnymi wirusami, takimi jak lentiwirusy, wścieklizna i AAV,
- doświadczenie w pracy z kulturami komórkowymi,
- silne zaangażowanie i motywacja,
- wiedza z zakresu biologii komórki i siatkówki oka,
- doświadczenie w klonowaniu genów i modyfikacjach komórek ssaków,
- podstawowe techniki biologii molekularnej