**Nová genová terapie Huntingtonovy choroby vstupuje v USA do klinických studií**

*Praha 3. září 2019*

**Právě před deseti lety, v létě 2009, se ve výzkumném Centru PIGMOD v Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR v Liběchově narodila první transgenní samice miniaturního prasete. Do její genetické informace byl začleněn mutovaný, tedy nesprávně tvarovaný lidský gen způsobující nevyléčitelnou Huntingtonovu chorobu. Na Adéle, jak byla prasnička pojmenována, a na jejím potomstvu pak vědci ověřovali koncept nové genové terapie. Ta nyní úspěšně vstupuje do fáze klinických studií.**

Huntingtonova choroba je dědičné neurodegenerativní onemocnění, které rodiče přenášejí na polovinu svých potomků. Protein, který onemocnění způsobuje, byl pojmenován huntingtin – podle amerického lékaře, který chorobu v roce 1872 popsal.

*„Miniprasata jsou jak pro výzkum, tak pro genovou terapii víc než příhodná. V dospělosti jsou totiž co do váhy i velikosti orgánů velmi podobná lidem,“* říká Jan Motlík, ředitel Centra PIGMOD (Pig Models of Diseases), které na finančně nákladném chovu transgenních liběchovských miniprasat již deset let spolupracuje s americkou nadací CHDI Foundation.

Na vývoji nové metodiky genové terapie Huntingtonovy choroby se spolu s Centrem PIGMOD podílí také zahraniční firma uniQure. Společné experimenty českých a nizozemských výzkumníků jednoznačně prokázaly, že jimi zvolená metoda léčby je bezpečná a efektivní. *„Do mozku transgenních miniprasat vpravujeme tzv. virové vektory, které dlouhodobě snižují hladinu mutovaného huntingtinu,“* vysvětluje vědecký postup Jan Motlík. Na finálních experimentech, které probíhaly za přísně kontrolovaných podmínek, se podíleli neurochirurgové brněnské Nemocnice u sv. Anny a pražské Nemocnice Na Homolce.

Americký vládní úřad na kontrolu potravin a léčiv, US FDA (Food and Drug Administration), metodiku genové terapie nyní nejen schválil, ale udělil jí prioritu, která umožnila zahájení první klinické studie v druhé polovině tohoto roku, zatím ve Spojených státech.

Nevyléčitelnou Huntingtonovou chorobou trpí v ČR asi 1000 lidí, průměrně postihuje 7 ze 100 000 lidí.

Centrum PIGMOD Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR disponuje třemi laboratořemi, které jsou špičkově vybavené pro biomedicínský výzkum, především díky evropské grantové podpoře. Nový operační sál vybavený pro vitro-retinální operace u miniprasat umožňuje rozvoj nového biomedicínského výzkumu zaměřeného především na dědičná onemocnění sítnice.

**Více informací:**

prof. Jan Motlík, ředitel Centra PIGMOD,

tel.: 315 639 560, 724 105 059, e-mail: motlik@iapg.cas.cz