**Vědci AV ČR vyvíjejí unikátní metodu. Může utlumit zmutovaný gen neléčitelného onemocnění**

*Praha, 10. ledna 2020*

**Týmu vědců pod vedením Martina Maršaly z Kalifornské univerzity v San Diegu se podařilo vyvinout a úspěšně otestovat novou operačně-aplikační metodu. Ta by v budoucnu ve spojení s genovou terapií mohla zpomalit postup amyotrofní laterální sklerózy (ALS), degenerativního onemocnění nervů a svalů, s nímž například dlouho bojoval legendární fyzik Stephen Hawking. Na výzkumu se podíleli také vědci z Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR a Ústavu makromolekulární chemie AV ČR. Výsledky společného úsilí nyní publikoval prestižní vědecký časopis *Nature Medicine*.**

Unikátní metoda „subpiální aplikace“ spočívá v podání genové terapie, která je schopná utlumit zmutovaný gen superoxid dismutázy SOD1 vyvolávající ALS, přímo pod měkkou plenu centrálního nervového systému, aniž by mozek či míchu jakkoli narušila.

Podstatnou roli ve výzkumu měli Štefan Juhás, Jana Juhásová a Helena Skalníková-Kupcová z *Centra PIGMOD* Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AVČR v Liběchově, které již deset let spolupracuje s americkou *Neuroregeneration Laboratory* na Kalifornské univerzitě v San Diegu*.*

*„Výzkum na myších modelech ukázal, že jednorázová subpiální injekce genové terapie v úrovni krční a bederní míchy u dospělých myší těsně před očekávaným vypuknutím onemocnění ALS způsobí dlouhodobé oddálení příznaků nemoci. Genová léčba aplikovaná po vypuknutí nemoci zamezuje dalšímu zhoršování choroby,“* komentuje nadějné výsledky Martin Maršala z Kalifornské univerzity.

**Úkol pro chemiky: jak potlačit imunitní reakci zvířat**

Pro testování nové techniky bylo – kvůli podobnosti s míchou lidí – vybráno liběchovské miniaturní prase. To představuje velký zvířecí model, který je zásadním preklinickým krokem před zahájením klinických zkoušek u lidských pacientů.

Pro zdařilý chod experimentů bylo zapotřebí potlačit vlastní imunitní reakci zvířat vhodným imunosupresivem. Přípravou polymerních mikrosfér s řízeným uvolňováním aktivní látky se zabývala Hana Studenovská z oddělení Biomateriálů a bioanalogických systémů vedeného Vladimírem Proksem z Ústavu makromolekulární chemie.

Oba ústavy spojuje dlouholetá spolupráce právě v oblasti neurodegenerativních onemocnění (traumatické poškození míchy, Huntingtonova choroba, chronická bolest) a tkáňového inženýrství (nanovlákenné polymerní nosiče pro implantaci buněk sítnicového pigmentového epitelu).

**Více informací:**

prof. Jan Motlík, ředitel Centra PIGMOD, Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR

tel.: 315 639 560, 724 105 059, e-mail: [motlik@iapg.cas.cz](mailto:motlik@iapg.cas.cz)

dr. Hana Studenovská, oddělení Biomateriálů a bioanalogických systémů,  
Ústav makromolekulární chemie AV ČR

tel.: 296 809 237, e-mail: [studenovska@imc.cas.cz](mailto:studenovska@imc.cas.cz)

**Citace článku:**

Mariana Bravo-Hernandez, Takahiro Tadokoro, Michael Navarro, Oleksandr Platoshyn, Yoshiomi Kobayashi, Silvia Marsala, Atsushi Miyanohara, Stefan Juhas, Jana Juhasova, Helena Skalnikova, Zoltan Tomori, Ivo Vanicky, Hana Studenovska, Vladimir Proks, PeiXi Chen, Noe Govea-Perez, Dara Ditsworth, Joseph D. Ciacci, Shang Gao, Wenlian Zhu, Eric T. Ahrens, Shawn P. Driscoll, Thomas D. Glenn, Melissa McAlonis-Downes, Sandrine Da Cruz, Samuel L. Pfaff , Brian K. Kaspar, Don W. Cleveland, and Martin Marsala: Spinal subpial delivery of AAV9 enables widespread gene silencing and blocks motoneuron degeneration in ALS. *Nature Medicine* **2019**

<https://doi.org/10.1038/s41591-019-0674-1>