

TISKOVÁ ZPRÁVA

Liběchov 29. října 2021

## ZÁMEK V LIBLICÍCH PŘIVÍTÁ ŠPIČKY VE VÝZKUMU ZÁVAŽNÝCH LIDSKÝCH ONEMOCNĚNÍ ZRAKU

**Jak zastavit s věkem postupující slepotu? Tato otázka by mohla být mottem tří denního vědeckého setkání, které organizuje Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR v konferenčním centru AV ČR v Liblicích. V neděli 31. října 2021 se na zámku u Mělníka sejdou vědci představující světovou špičku ve výzkumu dvou závažných lidských onemocnění zraku spolu se zástupci organizací, které výzkum těchto onemocnění podporují. Unikátní propojení vědecké a aplikované sféry v rámci jedné konference může významně urychlit proces vývoje terapií obou dosud neléčitelných onemocnění.**

Věkem podmíněná makulární degenerace (VPMD) je ve vyspělých zemích nejčastější příčinou slepoty u lidí nad 60 let. Jedná se o závažné onemocnění sítnice oka, které u většiny pacientů postupně vede až k úplnému oslepnutí. Dosud nelze zcela vyléčit, při včasném odhalení nemoci je však možné vhodnou terapií ztrátu zraku zbrzdit a zastavit další rozvoj nemoci.

*„Na našem pracovišti se zaměřujeme na buněčnou terapii tohoto onemocnění. Cílem je personalizovaná medicína využívající k léčbě tvorbu nediferencovaných, tzv. pluripotentních buněk z vlastních, nejčastěji krevních buněk pacienta. Právě VPMD, která se vyvíjí velmi pomalu, ale bohužel neodvratně, dává časový prostor pro přípravu takových buněk. Buňky budou následně diferencovány do buněk pigmentového epitelu sítnice (RPE), porostou na jedinečné nanofibrózní podložce a pak budou transplantovány do prostoru oka pod sítnicí, kde nahradí funkci buněk, které již neslouží pacientovu vidění,“* popisuje vyvíjenou terapii Taras Ardan z Centra PIGMOD Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR.

Během prvního dne konference se představí odborníci, kteří se podílejí na výzkumu všech dílčích kroků této nové léčby.



### **Liběchovská miniprasátka mohou pomoci s léčbou slepoty u dětí**

Druhý den bude věnován dalšímu dosud neléčitelnému onemocnění charakteristickému kombinací postižení sluchu a zraku. Usherův syndrom (US) je dědičné onemocnění, které se projevuje formou úplné hluchoty od narození, jež doprovázejí problémy s rovnováhou. Již v dětském věku dochází k postupné pigmentové degeneraci oční sítnice, která vede do puberty k úplné ztrátě zraku. Mutace, která způsobuje onemocnění, se dědí recesivně, to znamená, že dítě musí získat tuto genetickou změnu od obou rodičů, a proto našťastí není výskyt US masivní, postihuje asi 10 % neslyšících dětí.

*„Vzhledem k dědičné povaze onemocnění, způsobeného mutací v genu USH1C a produkujícího bílkovinu harmonin, vědecké USHER konsorcium usiluje o vypracování genové terapie Usherova syndromu. V našem centru PIGMOD chováme transgenní miniprasata pro tuto chorobu a metodika genové terapie bude ověřována právě na našem biomedicínském modelu,“* popisuje zapojení centra PIGMOD do výzkumu léčby Jan Motlík.

### **Menší workshop snadněji propojí základní a aplikovaný výzkum**

Výzkum Usher syndromu podporují společnost ODYLIA Therapeutics asoukromé nadace USHER 2020 (USA) a FAUN (Německo). Kvůli pandemii nemoci covid-19 se organizátoři obávali uspořádat tradiční, velkou mezinárodní konferenci o modelech lidských neurodegenerativních onemocnění, a zvolili proto menší setkání asi 50 lidí specializovaných pouze na onemocnění zraku.

*„Záhy se to ukázalo jako dobrá volba, neboť pozvání přijali vedle samotných vědců i zástupci zmíněných nadací a farmaceutické firmy, včetně zástupce Technologické agentury ČR podporující aplikovaný výzkum u nás. Věříme, že setkání špiček světového výzkumu v dané oblasti spolu se zástupci hlavních organizací, které tento výzkum podporují, povede k užší spolupráci a urychlení vyvíjení metod potenciálních terapií,“* popisuje význam workshopu Jan Motlík, hlavní organizátor konference.

Workshop, který se uskuteční od 31. října do 2. listopadu 202, může být realizován díky podpoře z projektu TO01000107 *Standardizované kultivace, transplantace a uchovávání RPE buněk za účelem léčení věkem-podmíněné makulární degenerace (AMD)*, který je spolufinancován se státní podporou Technologické agentury ČR v rámci Programu Kappa.

#### **Více informací:**

MUDr. **Taras Ardan**, Ph.D., Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR

e-mail: ardan@iapg.cas.cz

tel.: +420 775 237 255

Prof. MUDr. **Jan Motlík**, DrSc., Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR

e-mail: motlik@iapg.cas.cz

tel.: +420 724 105 059



**Kontakt pro média:**

RNDr. Barbora Vošlajerová, Ph.D., Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR

e-mail: [voslajerova@iapg.cas.cz](mailto:voslajerova@iapg.cas.cz)

tel.: +420 608 242 415

- Nabízíme možnost domluvit si rozhovor s vědeckými kolegy, zástupci ODYLIA Therapeutics, TA ČR či zástupci nadací USHER 2020 (USA) a FAUN (Německo).
- Nabízíme také možnost natáčet na konferenci, v laboratořích, operačních sálech a chovném zařízení miniprasat v ÚŽFG AV ČR v Liběchově (cca 20 km od Konferenčního centra AV ČR v Liblicích, cca 50 km od Prahy).

**Fotogalerie:**



*Obr. 1: Konferenční centrum AV ČR v Liběcích  
FOTO: archiv Zámku Liblice*



*Obr. 2: Liběchovské miniprase: model pro výzkum  
degenerativních onemocnění zraku  
FOTO: archiv ÚŽFG AV ČR*