

TISKOVÁ ZPRÁVA

Liběchov 27. května 2021

Akademie věd ČR
Národní 1009/3, 110 00 Praha 1
www.avcr.cz

V EVROPĚ MOHOU DÍKY LIBĚCHOVSKÝM MINIPRASATŮM ZAČÍT KLINICKÉ TESTY NOVÉ LÉČBY HUNTINGTONOVY CHOROBY

Liběchovská miniprasata z centra PIGMOD Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR byla použita v preklinických testech nové terapie Huntingtonovy choroby, závažného lidského onemocnění postihujícího mozek. Nadějně výsledky otevřely cestu terapie do fáze klinických testů, a posouvají tak reálné možnosti léčení onemocnění blíž k pacientům v Evropě.

Vědci z centra PIGMOD Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR se výzkumem Huntingtonovy choroby dlouhodobě zabývají. Tato vážná nemoc je způsobena mutací v genu kódujícím protein huntingtin.

„Cílem námi testované terapie je snížit množství huntingtinu přímo v mozku zvířat pomocí krátké interferující molekuly ribonukleové kyseliny (siRNA) zacílené přímo na sekvenci huntingtinu,“ popisuje nový přístup Jan Motlík, vedoucí centra PIGMOD. Virový vektor nesoucí krátkou molekulu siRNA se jednorázovou chirurgickou injekcí vpravuje přímo do mozku zvířete v celkové anestezii. *„Následně naměřená data ukázala snížení množství huntingtinu po 6 i po 12 měsících v nejdůležitějších oblastech mozku transgenních miniprasat, v bazálních gangliích, ale i v motorické oblasti mozkové kůry,“* popisuje konkrétní výsledky testů Zdeňka Ellederová, autorka publikace.

Liběchovská miniprasata představují zcela unikátní model pro výzkum Huntingtonovy choroby. *„Jedná se o námi vytvořené genetické modely, které nesou mutovaný lidský nebo prasečí huntingtin, ale klinicky mají zatím jen mírné symptomy Huntingtonovy nemoci, která je u lidí smrtelná s těžkým průběhem. Transgenní prasata jsou proto ideální pro testování potlačení produkce mutovaného huntingtinu, bez toho, aby sama trpěla symptomy Huntingtonovy nemoci,“* popisuje význam modelu Zdeňka Ellederová.

Na základě těchto nadějných výsledků preklinických testů bylo evropskou i americkou regulační agenturou (FDA a EMA) povoleno zahájení klinických testů na pacientech. *„Protože FDA Safety Board*

Kontakt pro média: **Eliška Zvolánková**
Divize vnějších vztahů AV ČR
press@avcr.cz
+420 739 535 007

Barbora Vošlajerová
Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR
voslajerova@iapg.cas.cz
+420 608 242 415

kladně vyhodnotil na podzim 2020 klinickou studii v USA, bude v roce 2021 klinické testování tohoto virového vektoru rozšířeno také o pacienty v Evropě,“ vysvětluje Jan Motlík. První fáze klinických testů by mohla začít letos na podzim.

Preklinické studie vznikly ve spolupráci vědců z centra PIGMOD Ústavu živočišné fyziologie a genetiky AV ČR s neurology z nemocnice Na Homolce, Fakultní nemocnice u svaté Anny a Veterinární univerzity v Brně pod vedením nizozemské firmy uniQure. Výsledky uveřejnil prestižní časopis [Science Translational Medicine](#).

Více informací:

Zdeňka Ellederová

Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR

ellederová@iapg.cas.cz

+420 731 412 354

Jan Motlík

Ústav živočišné fyziologie a genetiky AV ČR

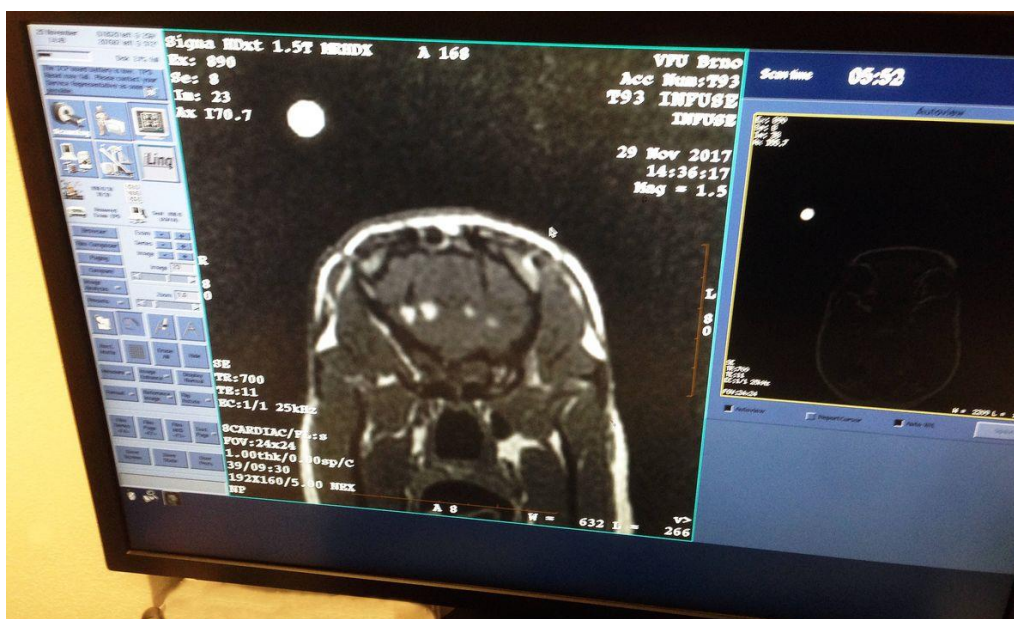
motlik@iapg.cas.cz

+420 724 105 059

Fotogalerie



Liběchovská miniprasata – ideální model pro výzkum Huntingtonovy choroby
FOTO: archiv UŽFG



Obrázek z magnetické rezonance se značící látkou pro ověření přesného místa vpichu pro aplikaci vektoru
FOTO: Z. Ellederová