

## TÁJÉKOZTATÓ EURÓPAI UNIÓS TÁMOGATÁSBÓL MEGVALÓSULÓ FEJLESZTÉSRE VONATKOZÓAN

a kedvezményezettek nevei:

Szegedi Biológiai Kutatóközpont  
Debreceni Egyetem

a projekt címe:

Az irányított és transzpozon-mediált génbevitel molekuláris kutatása a biztonságosabb génterápia érdekében

a szerződött támogatás összege:

962 017 600 forint

a támogatás mértéke (%-ban):

100 % (962 017 600 forint)

SZBK támogatás összege:

801 752 000 forint

SZBK támogatás mértéke (%-ban):

100 % (801 752 000 forint)

a projekt tartalmának bemutatása:

A projekt célja, egy olyan működési egység létrehozása, amelyben a DNS-javító rendszerek működésének befolyásolásával az irányított és transzpozon-specifikus génbevitel hatékonyabbá, specifikusabbá, egyben biztonságosabbá tehető. A molekuláris biológia egyik leginkább a jövőbe mutató területéhez tartoznak a célzott génterápiával kapcsolatos kutatások, amikor csak a betegség által érintett szerv, vagy szövet sejtjeit módosítják genetikailag: ezekbe juttatják be a betegséget kiváltó, mutáns gén jó kópiáját, mely már képes a normál funkciót ellátni. Ez az eljárás új lehetőséget kínál olyan súlyos betegségek esetében, melyek kezelésére hatékony, konvencionális terápia nem áll rendelkezésre, mint pl. az immunhiányos tünetegyüttesek, hormonhiányos betegségek, cisztás fibrózis. Ugyanakkor nyilvánvaló, hogy a hatékony terápiás génbevitt eredményező, véletlenszerűen integrálódó vektorokkal végzett beavatkozások biztonságosabbá tétele elengedhetetlen a rutinszerű klinikai alkalmazásban. A kutatások egyik legígéretesebb irányvonala ebben a tekintetben a DNS transzpozonok alkalmassá tétele génterápiás felhasználásra. A DNS transzpozon alapú vektorok két lényeges előnnyel rendelkeznek a virális génbevittel szemben: egyrészt integrációs mintázatuk a random eloszláshoz a vírusokénál sokkal közelebb áll, másrészt a transzpozon ITR (invertal terminal repeat) szekvenciák nincsenek számottevő hatással a környezetükben lévő génekre. Ezeknek köszönhetően a transzpozon-mediált terápiás génbevitel az inszerciós onkogenezis kockázatát nagymértékben csökkenti. Azonban a legújabb irányított génbeviteli módszerek sem érik el azt a specificitást és hatékonyságot, amely a célzott génterápia biztonságos működéséhez szükséges, így a tervezet célja ezeknek a módszereknek a fejlesztése, génterápiára alkalmassá tétele, ami forradalmasíthatja a modern gyógyászatot és megfelel a személyre szabott orvoslás gyors fejlődését sürgető társadalmi elvárásoknak.

a projekt tervezett befejezési dátuma:  
2022.08.31.

projekt azonosító száma:  
GINOP-2.3.2-15-2016-00024

További információ kérhető:  
Dr. Heffner Péter, pályázati irodavezető  
telefonszám: +36-62-599-727  
heffner.peter@brc.hu