

Специалисты Медико-генетического научного центра имени академика Бочкова и Федерального медицинского биофизического центра имени Бурназяна улучшили систему праймированного геномного редактирования. Исследование направлено на лечение муковисцидоза — наследственного заболевания, вызываемого мутацией в гене CFTR.

Ученые работали с наиболее распространенным в европейской популяции патогенным вариантом F508del, который приводит к нарушению функций дыхательных путей. Современные лекарственные препараты требуют пожизненного приема и эффективны только при определенных генотипах, что ограничивает их применение.

Новый подход использует систему праймированного редактирования, которая вносит разрыв только в одну нить ДНК. Это делает метод более безопасным по сравнению с традиционными технологиями, а также исключает офф-таргет эффекты — повреждения нецелевых участков генома.

Исследователи разработали и протестировали 12 модификаций системы редактирования на базальных клетках дыхательных путей пациентов. Одна из версий показала эффективность в 2,13 раза выше по сравнению со стандартным редактором.