

Chemicznie modyfikowane mRNA do zastosowań terapeutycznych

Jacek Jemielity

Centrum Nowych Technologii, Uniwersytet Warszawski

Od kilkudziesięciu lat naukowcy z całego świata starają się odkryć skuteczne metody walki z chorobami trudnymi do leczenia tradycyjnymi metodami, takimi jak nowotwory, genetyczne choroby rzadkie. Nadzieją na poprawę tej sytuacji jest tzw. terapia genowa, w której środek leczniczy dostarczany jest w postaci przepisu genetycznego, który następnie ulega ekspresji w komórkach pacjenta. W ostatnich latach wiele uwagi poświęcono w tym kontekście informacyjnemu RNA (mRNA), które jest genetycznym przepisem na konkretne białko. Zwieńczeniem tych wysiłków było opracowanie szczepionek mRNA przeciwko koronawirusowi, które jako pierwsze zostały zatwierdzone do powszechnego stosowania. Na drodze do skutecznych terapii opartych na mRNA pojawiło się wiele problemów, które udało się rozwiązać, ale jest też miejsce na kolejne ulepszenia otwierających drogę do nowych zastosowań. Podczas wykładu prelegent przedstawi ideę terapii genowych opartych na mRNA i ich ogromny potencjał wykraczający poza terapie przeciwnowotworowe i przeciwwirusowe. Opowie o głównych problemach związanych z rozwojem tej nowatorskiej terapii i sposobach ich rozwiązania z wykorzystaniem metod chemicznych, w tym opracowanych w jego Zespole.

