

Chemicznie modyfikowane mRNA do zastosowań terapeutycznych

Jacek Jemielity^{1,2}

- 1) Centrum Nowych Technologii, Uniwersytet Warszawski
- 2) ExplorNA Therapeutics

Zastosowanie technologii mRNA jest rozważane w kontekście różnorodnych terapii przeciwko chorobom zakaźnym, nowotworowym, genetycznym chorobom rzadkim. Może być ona również użyteczna w precyzyjnych metodach edycji genomu, terapiach komórkowych, czy medycynie regeneracyjnej. Potencjał technologii mRNA po części ujawnił się podczas pandemii, kiedy pozwoliła ona na opracowanie dwóch pierwszych szczepionek przeciw wirusowi Sars-Cov-2. Jednak technologia ta ma wciąż swoje ograniczenia, które muszą zostać pokonane aby kolejne zastosowania terapeutyczne mRNA były możliwe, a przede wszystkim skuteczne. Podczas wykładu przedstawione zostaną najważniejsze zagadnienia związane z technologią mRNA, jej ograniczenia oraz przykłady rozwiązań poprawiających jej właściwości terapeutyczne. Prelegent przedstawi ostatnie osiągnięcia swojego Zespołu na tym polu dotyczące w szczególności modyfikacji końców 5' i 3' oraz chemicznej cyklizacji mRNA. Przedstawione zostaną również narzędzia molekularne do monitorowania losów mRNA w komórkach, które mogą być użyteczne w projektowaniu nowych terapii z wykorzystaniem technologii mRNA.