

POLIPLEXOEN ETA LIPOPLEXOEN GARAPEN PREKLINIKOA ERRETINAREN ENDEKAPENA ERAGITEN DUTEN GAIXOTASUN GENETIKOAN TRATAMENDURAKO

Mireia Agirre Diez



SARRERA

- **Zer da Terapia Genikoa?**
- **Terapia Genikoaren erabilera**
- **Beharrezko osagaiak**
- **Terapia Geniko Biralak vs Ez-biralak**

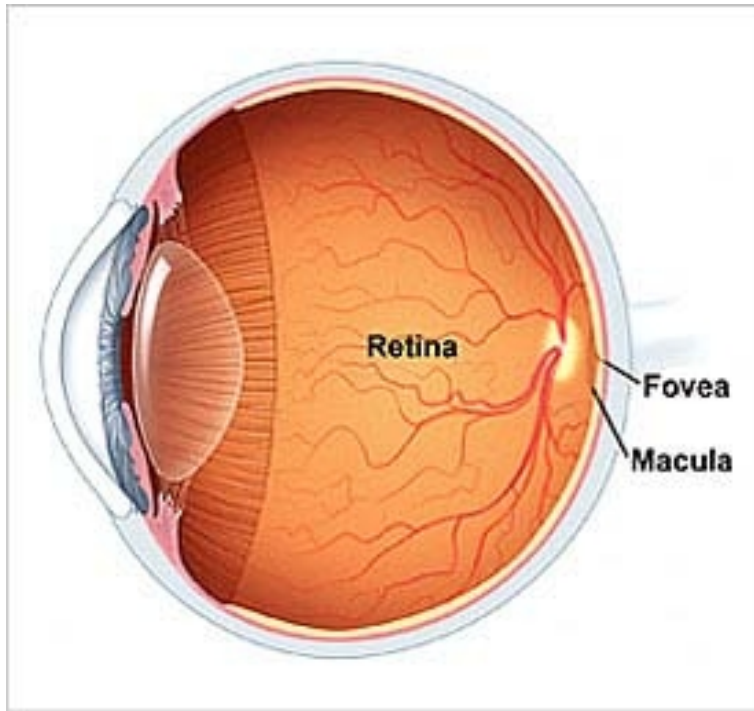
Zer da Terapia Genikoa?

- Gaixotasun genetikoak tratatzeko terapia bat da, non, eraldatutako gene bat zeluletan barneratzen den kaltetutako genea ordezkatu edo modulatzeko zein molekula bioaktiboak sintetizatzen



Terapia Genikoaren erabilera

- ❑ Erraz iritsi daitekeen organoa
- ❑ Organo lokalizatua



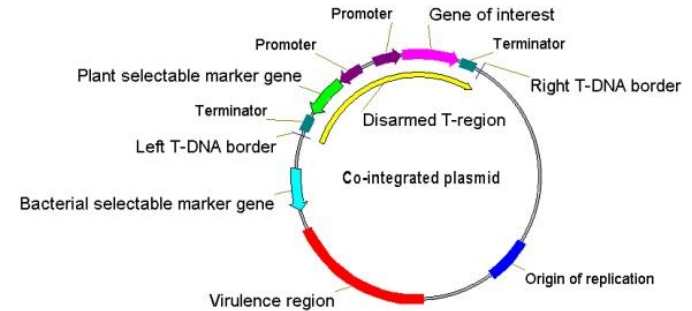
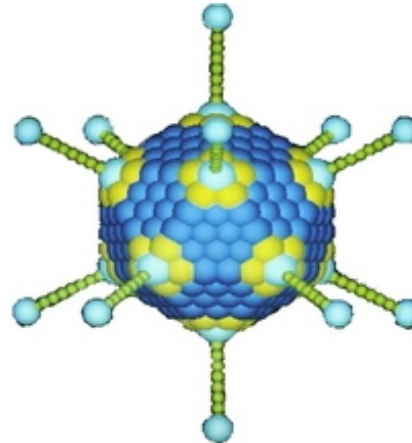
- Pigmentu-erretinitisa
- Stargardt-en gaixotasuna
- Koroideremia

Beharrezko osagaiak

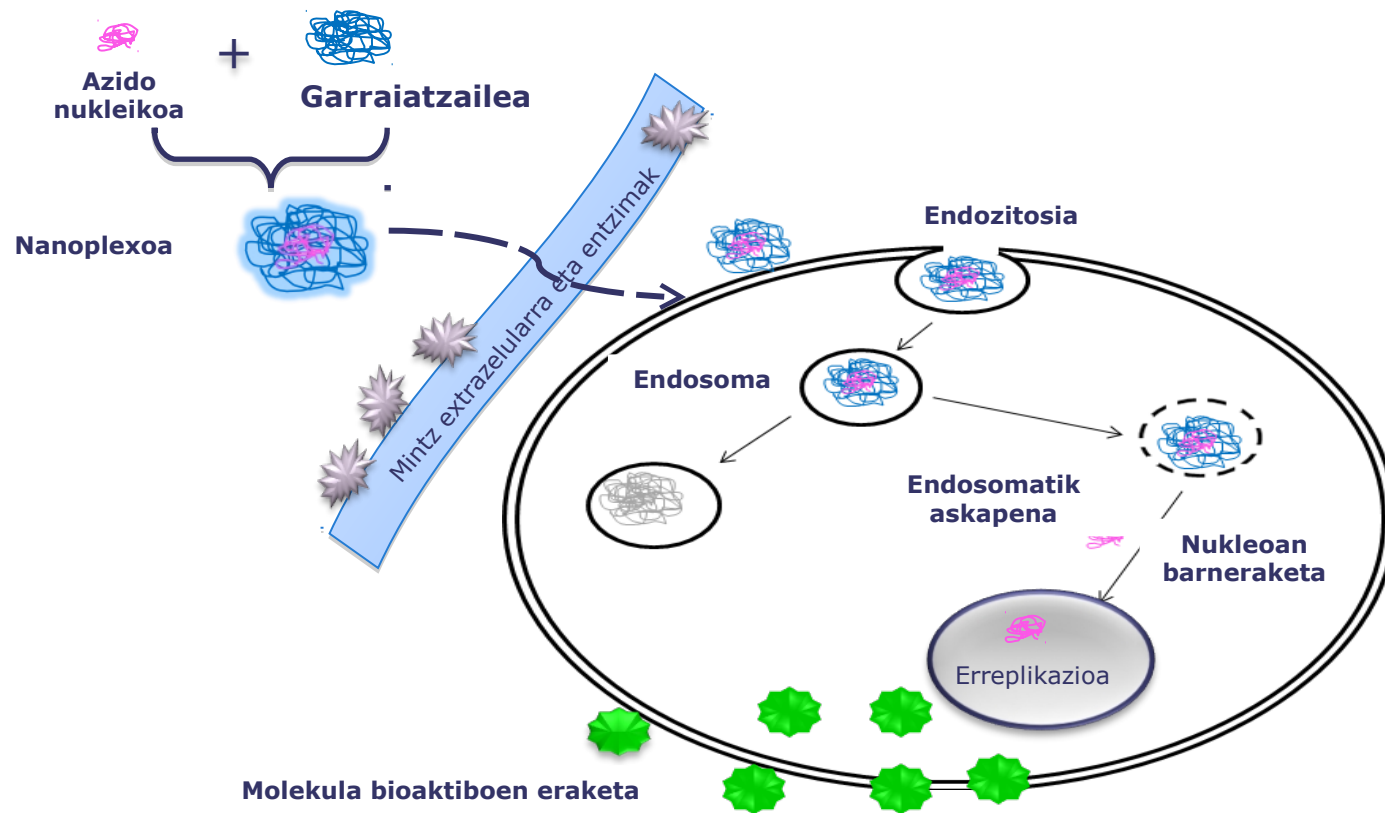
- Gen terapeutikoa
- Genea garraiatzen duen plasmida
- Garraiatzailea

- Birala

- Ez-birala



Transfekzio prozesua



Terapia Geniko birala vs ez-birala ^{Sarrera}

GARRAIATZAILE BIRALAK

- Tranfekzio efizientzia altuak
- **Erantzun immunologiko gogorra**
- **Onkogenikoak**
- **Koste altuko ekoizpen prozesua**
- **Tamaina handiko ADN garraiatzeko zailtasuna**

GARRAIATZAILE EZ-BIRALAK

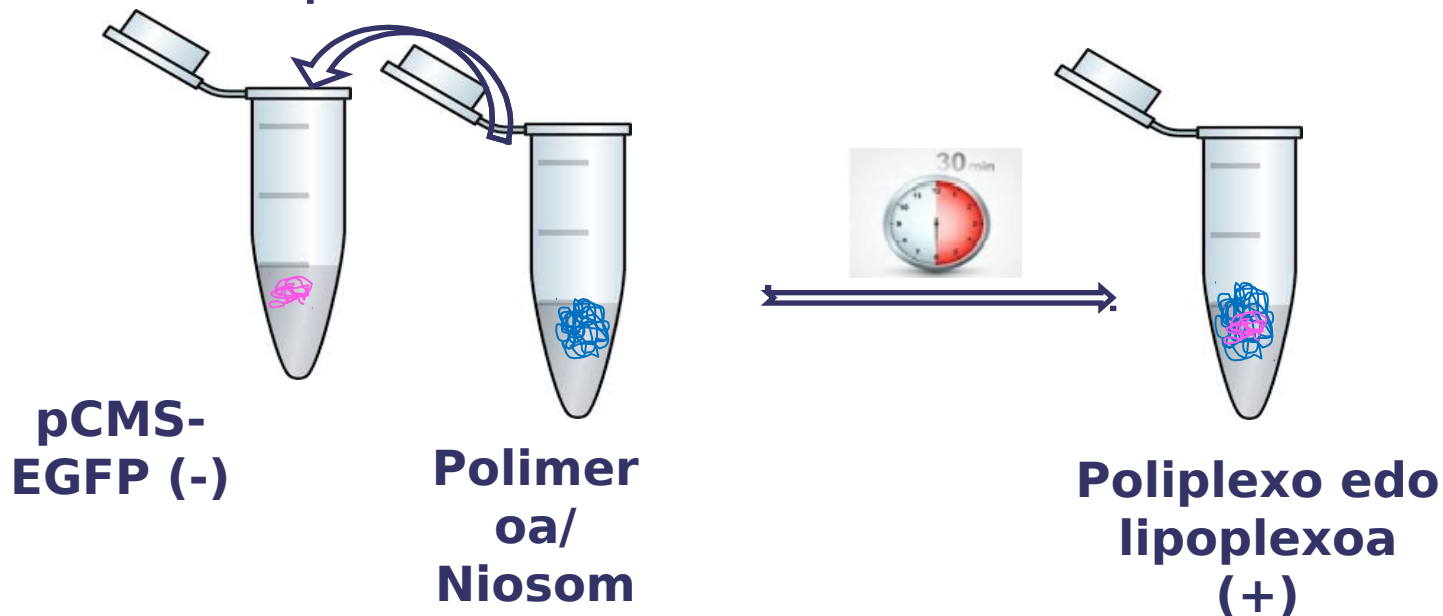
- **Ez dago ADN tamainaren mugarik**
- **Ez-kutsakorrak**
- **Inmunogenizitate baxua**
- **Kostu baxukoak eta produkzio errazekoak**
- **Koste baxukoak eta ekoizpen errazekoak**
- Transfekzio efizientzia baxua
- In vivo gene expresio laburra

TERAPIA GENIKO EZ- BIRALA: POLIPLEXO ETA LIPOPLEXOAK

- Nanoplexoen ekoizpena
- Nanoplexoen karakterizazio fisiko-kimikoa
- In-vitro entseguak
- In-vivo entseguak

Nanoplexoen ekoizpen prozesua

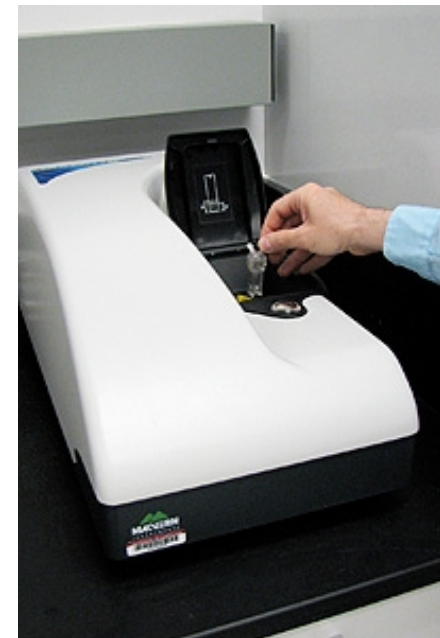
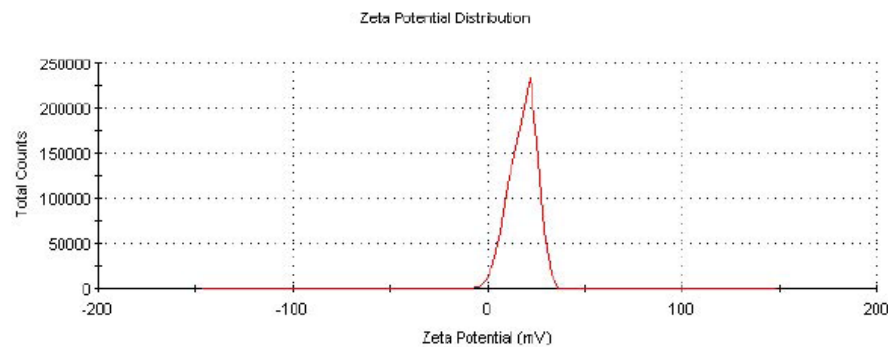
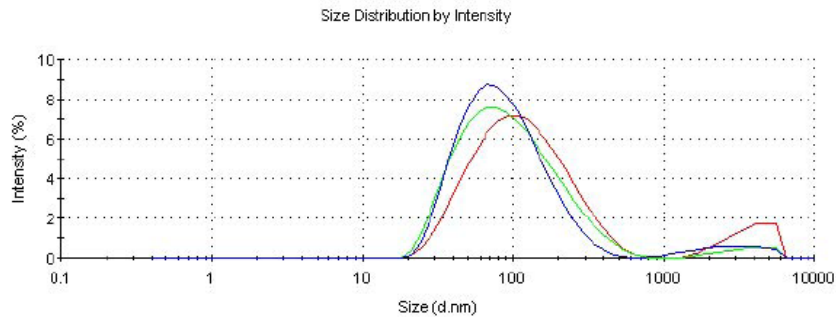
- **Nanoplexoak: Poliplexo eta lipoplexoak**
 - **Poliplexoak:** polimeroa da garraiatzailearen oinarria.
 - **Kitosanoa**
 - **Lipoplexoak:** lipido kationikoa da garraiatzailearen oinarria.
 - **Nanopartikula lipidikoak eratzten dira emultsio bidez: niosomak**



Terapia Geniko Ez-birala: poliplexo eta lipoplexoak

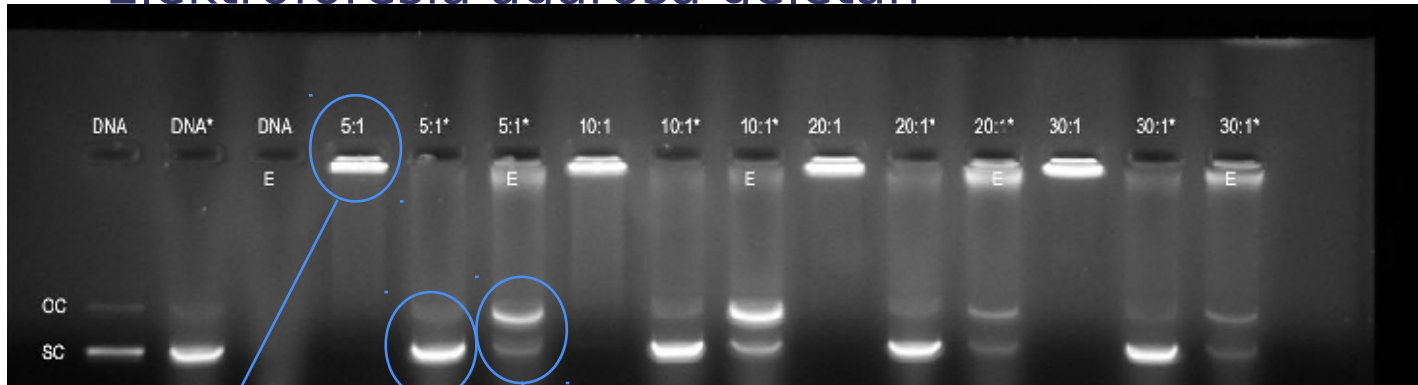
Nanoplexoen karakterizazioa

□ Tamaina eta zeta potentziala



Nanoplexoen karakterizazioa

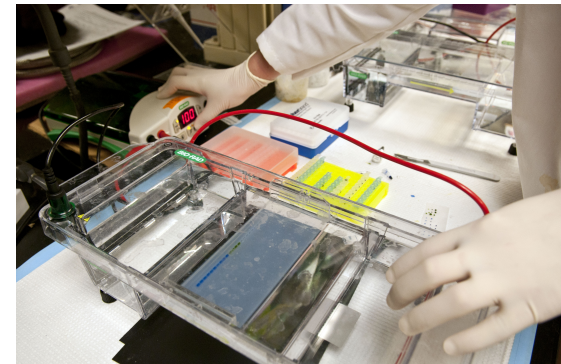
- **Azido nukleikoa lotzeko, askatzeko eta babesteko gaitasuna**
 - Elektroforesia agarosa geletan



Lotura

Askapena

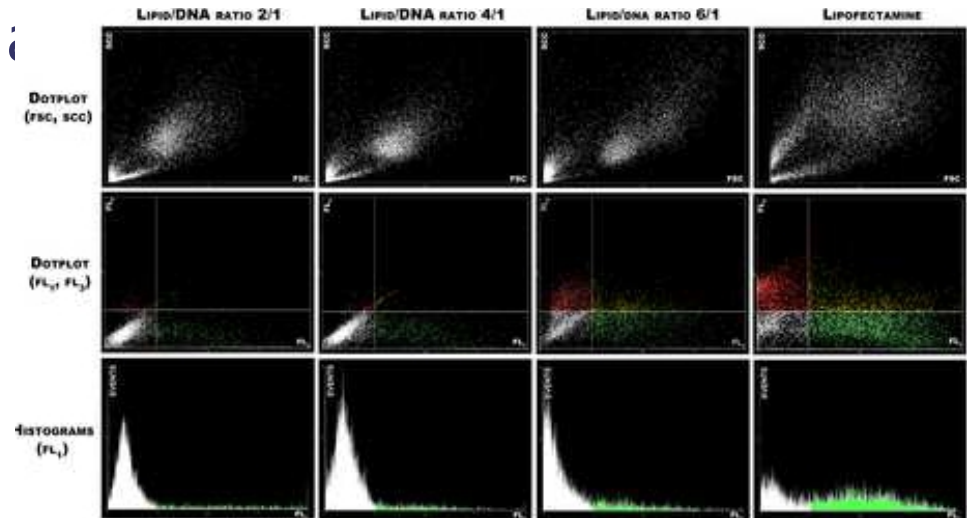
Babesa



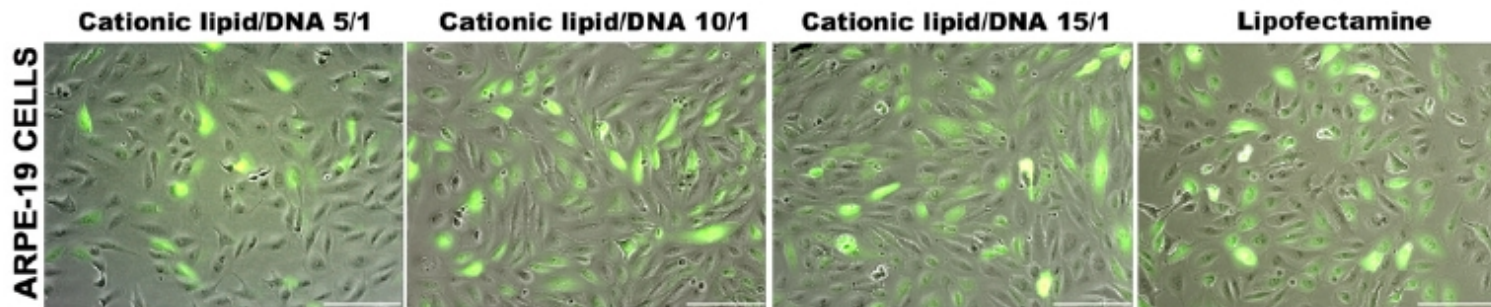
In vitro transfezio entseguak

Terapia Geniko Ez-birala: poliplexo eta lipoplexoak

- Zitometria bidezko analisia



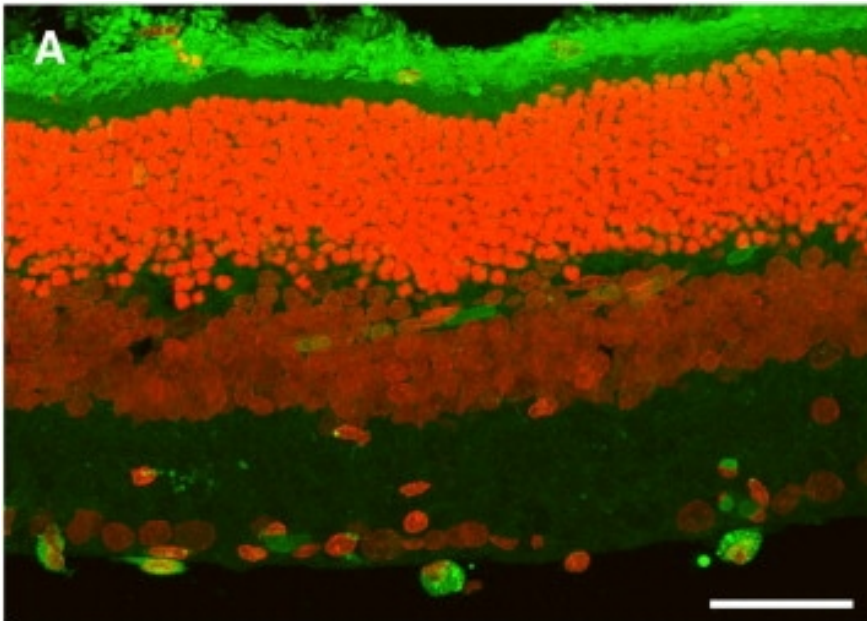
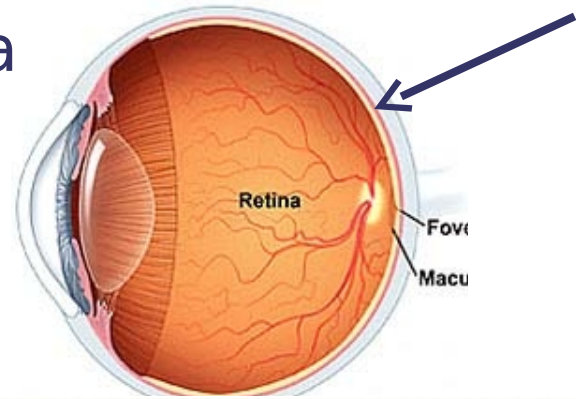
- Analisi Mikroskopikoa



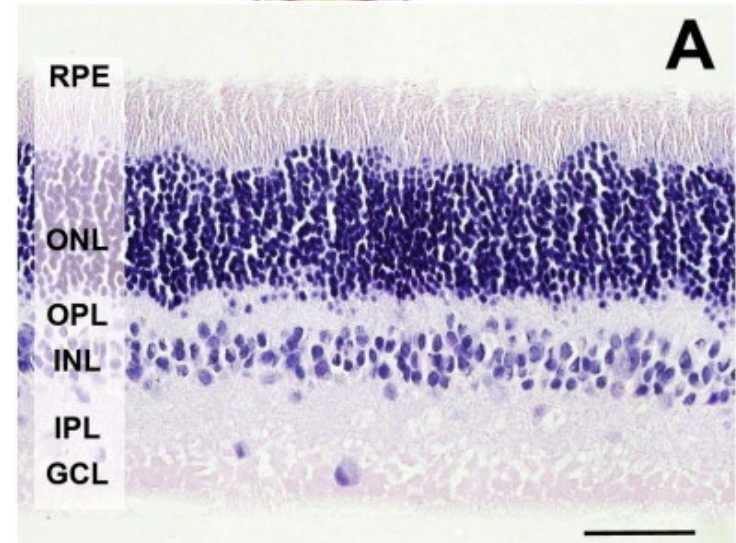


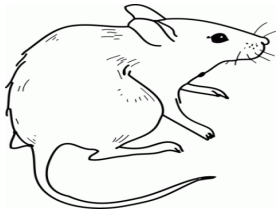
n vivo entseguak

- Erretina azpian administrazioa



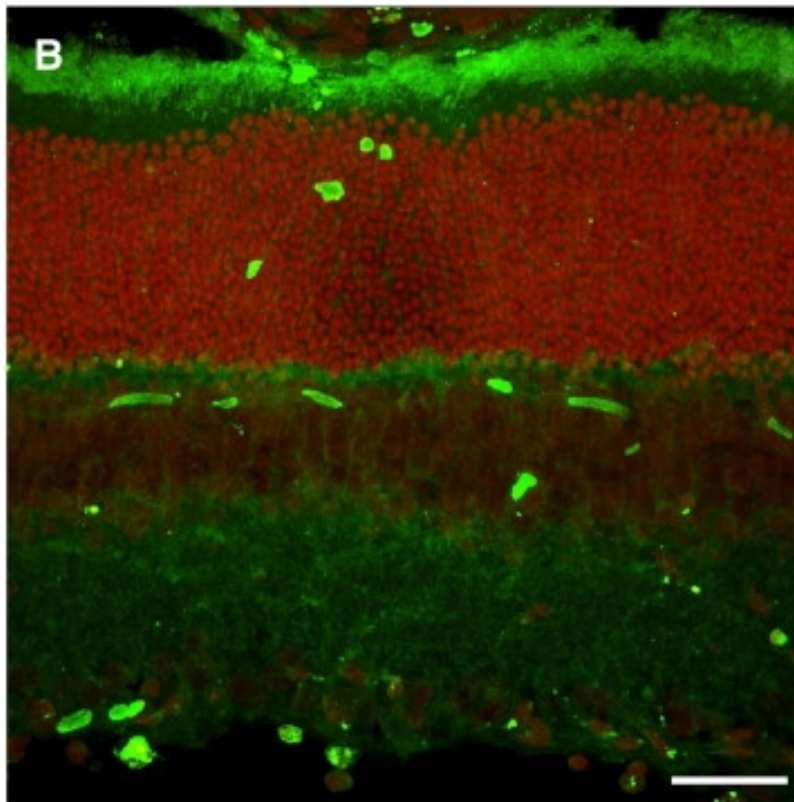
Berdea: GFP proteina
Gorria: zelulen nukleoak



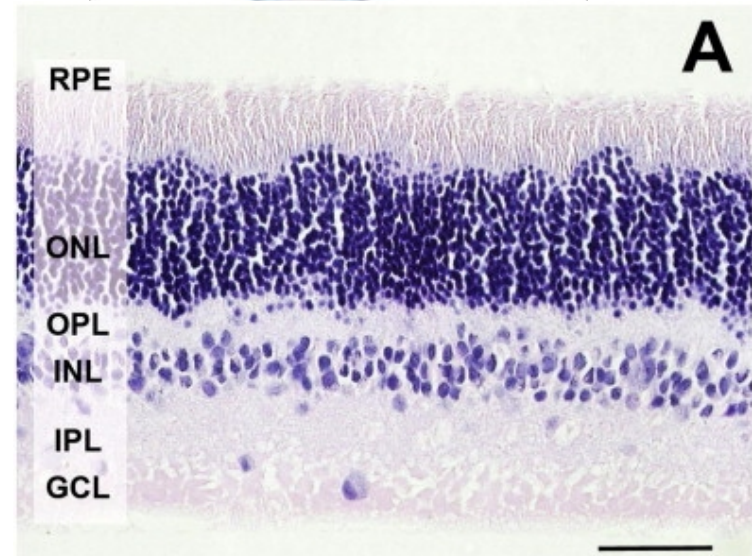
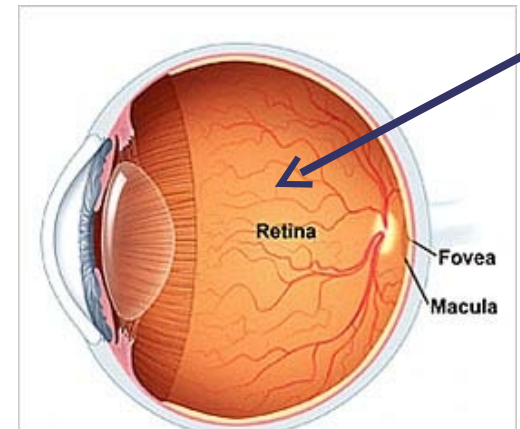


n vivo entseguak

- Humore beirakara barnean administrazioa



Berdea: GFP proteina
Gorria: zelulen nukleoak



ETORKIZUNERA BEGIRA...

ciber-66n
Centro Investigación Biomédica en Red
Bioingeniería, Biomateriales y Nanomedicina



NanoBioCel
Grupo de Micro y Nano Tecnologías,
Biomateriales y Células

eman ta zabal zazu



Universidad
del País Vasco

Euskal Herriko
Unibertsitatea

Hurrengo pausoak...

- ❑ Gen terapeutikoarekin entseguak
- ❑ Gaixotasunaren animalia ereduak erabili
- ❑ Inbasiboak ez diren emanbideetarako nanoplexoak garatu:
 - ❑ Administrazio topikoa erretinarako
 - ❑ Administrazio intranasala garunera heltzeko
- ❑ Birrikako gaixotasuenen tratamendurako dosifikazio formak



NanoBioCel 2013

ESKERRIK ASKO!

ciber-66n
Centro Investigación Biomédica en Red
Bioingeniería, Biomateriales y Nanomedicina



NanoBioCel
Grupo de Micro y Nano Tecnologías,
Biomateriales y Células

eman ta zabal zazu



Universidad
del País Vasco

Euskal Herriko
Unibertsitatea