

Краткое описание проекта

ПНИ «Разработка генетических конструкций для коррекции митохондриальных дисфункций»

Этап №1 (07.08.2014 – 31.12.2014)

по теме: Выбор направления исследований. Теоретические исследования поставленных перед НИР задач. Предварительные экспериментальные исследования

В ходе выполнения проекта по Соглашению о предоставлении субсидии от 07.08.2014г. № 14.604.21.0113 с Минобрнауки России в рамках Федеральной целевой программы «Исследования и разработки по приоритетным направлениям развития научно-технологического комплекса России на 2014- 2020 годы» на этапе № 1 в период с 07 августа 2014 года по 31 декабря 2014 года в соответствии с «Планом - графиком исполнения обязательств» по Соглашению перед нами были **поставлены следующие цели и задачи:**

- Разработка структуры генетической конструкции на основе нуклеиновых кислот для коррекции митохондриальной дисфункции, вызываемой мутациями в митохондриальном геноме.
- Разработка метода доставки генетической конструкции в митохондрии при помощи использования белков-переносчиков или естественной системы транспорта нуклеиновых кислот в митохондрии с целью дальнейшей коррекции митохондриальной дисфункции, вызываемой мутациями в митохондриальном геноме.
- Разработка методики оценки эффективности действия разработанной генетической конструкции.

Настоящий проект направлен на решение биомедицинских задач по лечению заболеваний человека, вызываемых мутациями в митохондриальном геноме.

Основные результаты проекта:

- 1) Проведен детальный анализ научно-технической литературы, нормативно-технической документации и других материалов, относящихся к разрабатываемой теме. Рассмотрены фундаментальные механизмы транспорта биологических макромолекул в митохондрии, проанализированы различные аспекты супрессии мутаций в митохондриальном геноме, опубликованные в научной периодике. Проведены исследования, обоснование и выбор методов и средств, направлений исследований и способов решения поставленных задач. В результате детального анализа литературных данных было установлено, что оптимальное решение поставленные задачи может быть достигнуто при помощи использования белков-переносчиков нуклеиновых кислот в митохондрии.
- 2) В экспериментальной части ПНИ был отобран один перспективный белок-кандидат; было показано, что даже в неоптимизированных условиях эксперимента он способен доставлять нуклеиновые кислоты в митохондрии. Были также установлены фундаментальные механизмы взаимодействия этого белка с нуклеиновыми кислотами.
- 3) Полученные в ходе выполнения ПНИ результаты позволяют предполагать, что выбранный способ транспортировки белково-нуклеиновой конструкции через мембрану митохондрий позволит на последующих этапах выполнения ПНИ разработать новые способы супрессии мутаций в митохондриальном геноме.
- 4) Полученные теоретические и экспериментальные результаты этапа №1 ПНИ полностью удовлетворяют техническим требованиям проекта и позволяют продолжать выбранное направление исследований согласно Техническому заданию и Плану-графику.

5) Исследования выполнены на мировом уровне, все результаты получены впервые в мире.

Назначение и область применения результатов проекта

Генетические конструкции, полученные в результате выполнения проекта, могут быть использованы в медицине, для вывода в клиническую практику новых препаратов на основе нуклеиновых кислот для лечения наследственных болезней человека, вызванных мутациями в митохондриальном геноме.

Использование генетических конструкций для супрессии митохондриальных мутаций является перспективным направлением развития науки. Такие заболевания, как синдромы MERRF, MELAS или KSS в настоящее время не поддаются лечению. Выполняемые ПНИ направлены на преодоление технических и методологических трудностей в коррекции мутаций митохондриального генома, и на вывод разрабатываемых генетических конструкций в клиническую практику.

Данный проект относится к разряду научных исследований, результаты которых могут оказать значимый эффект значение на развитие науки и технологии. Результаты выполняемых ПНИ приблизят разработку клинических методов лечения заболеваний человека, связанных с мутациями в ДНК митохондрий.

Эффекты от внедрения результатов проекта

Ожидаемые результаты дадут возможность приблизиться к внедрению в медицинскую практику генно-терапевтических подходов к супрессии мутаций в митохондриальном геноме. Результаты проекта могут быть использованы для разработки соответствующих технологий, проведения доклинических и клинических испытаний таких подходов. В перспективе, результаты проекта позволят значительно улучшить качество жизни пациентов, страдающих наследственными митохондриальными заболеваниями. Таким образом, использование ожидаемых результатов будет иметь значимый социально-экономический эффект и приведет к созданию новой продукции или к улучшению свойств имеющейся продукции.

Формы и объемы коммерциализации результатов проекта

Разрабатываемые генетические конструкции и методы их доставки в митохондрии будут востребованы научными коллективами, занимающимися молекулярной биологией/медициной митохондрий и компаниями, которые готовы разрабатывать новые подходы к генной терапии.

Описание видов новой и усовершенствованной продукции (услуг), которые могут быть созданы на основе полученных результатов интеллектуальной деятельности (РИД), будет создано в ходе выполнения проекта в 2015-2016 гг.

Результаты первого этапа ПНИ будут доложены на Северном симпозиуме по биологии митохондриальных РНК в Леви, Финляндия, и на Международная научная конференция студентов, аспирантов и молодых учёных «Ломоносов-2015» в Москве в апреле 2015 года.

Комиссия Минобрнауки России признала обязательства по Соглашению на отчетном этапе исполненными надлежащим образом: Использование средств субсидии в размере 3 000 000 (Три миллиона) рублей, предоставленных Получателю субсидии по Соглашению с Минобрнауки России от от 07.08.2014г. № 14.604.21.0113 на этапе № 1 Плана-графика исполнения обязательств условиям Соглашения с Минобрнауки России соответствует. Работы по Соглашению о предоставлении субсидии на этапе № 1 Плана-

графика исполнения обязательств выполнены в установленный срок и удовлетворяют условиям данного Соглашения, в том числе Техническому заданию и Плану-графику исполнения обязательств