



UNIwersytet
Warszawski

Biuro Prasowe

18.05.2018

BLIŻEJ LEKU NA RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI

Zespół prof. Jacka Jemielitego i dr Joanny Kowalskiej z UW od dawna pracuje nad modyfikacjami mRNA. Do tej pory ich badania przybliżyły firmy farmaceutyczne do stworzenia szczepionek przeciwnowotworowych. Tym razem naukowcy uzyskali cząsteczkę, która może pomóc w opracowaniu leku na rdzeniowy zanik mięśni (SMA).

Naukowcy z Centrum Nowych Technologii i Wydziału Fizyki od kilkunastu lat pracują nad tworzeniem analogicznych końców cząsteczek mRNA. Jedno z odkryć naukowców stało się przedmiotem największej w Polsce komercjalizacji nauki – wartość sprzedanych licencji i sublicencji osiągnęła 670 milionów dolarów.

Dwie modyfikacje

Zespół pracujący pod kierunkiem prof. Jacka Jemielitego i dr Joanny Kowalskiej opracował nowe modyfikacje kapu 5', które wykazują zaskakujące właściwości biologiczne, atrakcyjne z perspektywy potencjalnych zastosowań klinicznych.

– Obecnie prowadzimy zaawansowane rozmowy z przedstawicielami firm farmaceutycznych zainteresowanych uzyskiwaniem trwałego mRNA wykorzystywanego w innowacyjnych lekach. Szczególnie interesująco wygląda możliwość zastosowania naszego wynalazku na zupełnie innych polach terapeutycznych niż te, na których wykorzystywano nasze dotychczasowe odkrycia – czyli nie tylko do projektowania szczepionek przeciwnowotworowych – powiedział prof. Jacek Jemielity.

Odkrycie obejmuje dwie modyfikacje: pierwsza z nich pozwala znacznie taniej i szybciej syntetyzować dowolne mRNA niezbędne do projektowania innowacyjnych terapii oraz do zapewnienia testów klinicznych w odpowiedniej skali. Druga modyfikacja pozwala uzyskać cząsteczkę, która ma silne właściwości hamujące enzym degradujący kap, występujący naturalnie w komórkach. Według naukowców, to odkrycie może znaleźć zastosowanie w opracowaniu leku na rdzeniowy zanik mięśni (SMA) lub inne schorzenia o podłożu genetycznym.

Bardzo aktywna cząsteczka

– Jedna z opracowanych przez nas modyfikacji kapu może w przyszłości zostać wykorzystana jako lek. – Odkryliśmy modyfikowaną cząsteczkę, która silnie hamuje enzym degradujący kap, obecny w żywych komórkach. Ta nowa cząsteczka jest ponad stukrotnie aktywniejsza

w porównaniu z naszymi dotychczasowymi wynalazkami. Taki efekt jest pożądanym w walce z poważnym schorzeniem, jakim jest rdzeniowy zanik mięśni – mówi dr Joanna Kowalska.

Oba wynalazki zostały objęte ochroną patentową, a wyniki prac opublikowane w prestiżowym czasopiśmie naukowym [Journal of the American Chemical Society \(JACS\)](#). – To praca naukowa, w której mają udział wyłącznie Polacy. Nieczęsto zdarza się, aby badania bez udziału zagranicznych ośrodków naukowych osiągnęły uznanie recenzentów na tak wysokim poziomie – powiedział prof. Jemielity.

Zespół prof. Jacka Jemielitego został w tym roku nominowany do Nagrody Europejskiego Wynalazcy, przyznawanej przez Europejski Urząd Patentowy. Polacy znaleźli się w gronie 15 spośród ponad 530 zgłoszonych wynalazców. Obecnie trwa głosowanie w kategorii publiczności *Popular Prize* – jej laureaci zostaną wyłonieni w plebiscycie internetowym, w którym można wziąć udział na stronie: <https://www.epo.org/learning-events/european-inventor/finalists/2018/jemielity.html>