

# МЕТОД ВОССТАНОВЛЕНИЯ ДЕФЕКТНОГО ГЕНА F508del ПЕПТИДА CFTR ПРИ МУКОВИСЦИДОЗЕ

С. В. Буряченко

(научный руководитель – д. б. н., проф. Е. Е. Перский)

*Харьковский национальный университет имени В. Н. Каразина, кафедра биохимии*

**Введение.** Ген F508del с нарушенной структурой не способен синтезировать нормальный функциональный пептид CFTR участвующий в транспорте ионов хлора через мембрану клетки. Мутации в гене CFTR приводят к возникновению заболевания муковисцидоз и мужского бесплодия. Восстановление гена F508del способствует синтезу функционального белка CFTR.

**Цель.** Исследовать возможность генетической регуляции дефектного гена F508del CFTR при муковисцидозе нанокристаллами галлуазита микроинъекциями на атимусных мышцах линии nu/nu.

**Материалы и методы.** Модельным объектом служили атимусные мышцы линии nu/nu, которым были подсажены клетки кишечника от больных муковисцидозом людей. Метод восстановления проводился подготовкой образца. Нанокристаллы галлуазита, вводились внутривенно микроинъекциями в течении 3 недель с интервалом 2 дня. Сплайсинг мРНК белка CFTR контролировали гель - электрофорезом. Этапы метаболизирования нанокристаллов галлуазита отслеживали с помощью флюорисцентного белка TurboGFP.

**Результаты.** Восстановление гена delF508 нанокристаллы встраиваются объединяя 5'-сайт и 3'-сайты сплайсинга, в одну молекулу нуклеотидные последовательности РНК, транскрибированные с разных генов. В основе восстановления гена F508del лежит рекомбинационный процесс генов, включающий образование двунитчатых разрывов и лигирование нуклеотидных последовательностей в новых комбинациях.

**Выводы.** Наше внимание привлекает возможность генотерапии этого заболевания, в частности, методы генноинженерного лечения МВ не требующее применения донорских стволовых клеток, вируса ВИЧ человека, ретровирусов.