

Kalina Andrysiak, Jacek Stępniewski, **Józef Dulak***
Zakład Biotechnologii Medycznej
Wydział Biochemii, Biofizyki i Biotechnologii
Uniwersytet Jagielloński,
*Członek-korespondent Wydziału V Lekarskiego PAU

„Serce na chipie” – nowoczesna metoda modelowania kardiomiopatii u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne’a

Abstrakt

Dystrofia mięśniowa Duchenne’a (DMD) jest recesywną chorobą genetyczną sprzężoną z płcią, która spowodowana jest mutacjami w największym ludzkim genie kodującym dystrofinę. Brak dystrofiny prowadzi do postępującego uszkodzenia mięśni szkieletowych, a w dalszym przebiegu choroby do niewydolności oddechowej oraz kardiomiopatii, która jest główną przyczyną śmierci u pacjentów z DMD i następuje zwykle przed ukończeniem przez nich 30. roku życia. Mechanizm powstawania kardiomiopatii nie jest jeszcze w pełni poznany, dlatego do badań w warunkach *in vitro* wykorzystywane są generowane z komórek somatycznych pacjentów ludzkie indukowane pluripotencjalne komórki macierzyste (hiPSC) oraz uzyskiwane z nich kardiomiocyty. Jednakże w ostatnim czasie podejście do modelowania chorób w warunkach *in vitro* zostało udoskonalone w technologii organów na chipach (ang. *organs-on-a-chip*), a w przypadku chorób serca – kontrolę ich mikrośrodowiska, a także wykonywanie różnego typu stymulacji (np. mechanicznych i elektrycznych) oraz stały odczyt uzyskiwanych danych. Wykorzystywanie modelu serca na chipie jest ponadto atrakcyjne w kontekście badań dotyczących poszukiwania nowych leków, ponieważ jak powszechnie wiadomo, reakcje obserwowane w odpowiedzi na badaną substancję farmakologiczną w zwierzęcych modelach chorób często mają słabe odzwierciedlenie w reakcjach obserwowanych w ludzkich komórkach. Projekt CISTEM (*Heart On Chip based on human-induced pluripotent Stem cell Technology for personalized Medicine*) otrzymał finansowanie w obrębie działania RISE (*Marie Skłodowska-Curie – International and inter-sectoral cooperation through the Research and Innovation Staff Exchanges*) i realizowany jest przez nasz zespół we współpracy z międzynarodowym konsorcjum w celu opracowania modelu serca na chipie do badania zaburzeń funkcjonowania serca u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne’a.