



Forschungsprojekt mit humanen embryonalen Stammzellen /

Projet de recherche utilisant des cellules souches embryonnaires humaines

R-FP-S-2-0024-0000

Referenznummer / numéro de référence	R-FP-S-2-0024-0000
Projekttitel / titre du projet	<i>Zelltypen differenziert aus embryonalen Stammzellen: ein wichtiger Pfeiler in der Untersuchung von molekularen Krankheitsursachen und für die Untersuchung von Wirkungsmechanismen von Medikamenten.</i>
Projektstand / état du projet	beendet
Projektleiter_in / direction du projet	Dr. Stephanie Küng, Team Lead functional Cellular Assays
Institut, Firma / institut, société	F. Hoffmann-La Roche Ltd Therapeutic Modalities Bldg/Room 69/9 4070 Basel
Projektbeginn / début du projet	August 2020
Voraussichtliche Dauer / durée probable	unbefristet
Ziele des Projekts / but du projet	Das Ziel der geplanten Forschung ist die Präklinischen Forschung zur in vitro Charakterisierung von Substanzen, deren physiologischen Wirkmechanismen und nicht-physiologischen Nebenwirkungen untersucht werden sollen. Die Arbeit mit Stammzellen erlaubt es uns, möglichst nahe an der in vivo Situation mit humanem Material zu arbeiten und so relevantere Daten zu generieren. In einigen unserer neuen Therapieansätze (z.B. Gentherapie) ist es zudem unabdingbar, humane in vitro Modelle zu haben, da die Reagenzien in der Maus wegen unterschiedlichen Gensequenzen nicht funktionieren. Die ursprünglichen Arbeiten und auch weitere neue Differenzierungsprotokolle für neue Zelltypen werden in Zusammenarbeit mit akademischen Gruppen, zum Beispiel dem Massachusetts General Hospital (MGH) und der Universität Harvard in Cambridge/Boston, USA, ausgeführt.



Verwendete hES Zelllinien /	SA167	BAG-hES-IMP-0030
Lignées de cellules utilisées	SA001	BAG-hES-IMP-0031
	H1 (WA01)	BAG-hES-IMP-0001
	H7 (WA07)	BAG-hES-IMP-0034
	H9 (WA09)	BAG-hES-IMP-0016
	H9 del 15q11- q13—AS1	BAG-hES-IMP-0086
	H9 AS del I-P NGN2	BAG-hES-IMP-0084
	H9 AS del I-P	BAG-hES-IMP-0085
	H9-PWS NGN2	BAG-hES-IMP-0082
	H9-PWS del	BAG-hES-IMP-0083
	H1_Pax6-YFP	BAG-hES-IMP-0087
	H9-SOX2-GFP	BAG-hES-IMP-0079
	H9-hTnnT2-pGZ-TD2	BAG-hES-IMP-0072
	H9. SOX17-mCHERRY	BAG-hES-IMP-0077
	H9. T-Venus	BAG-hES-IMP-0078
	HES-3 MESP1mCherry/w NKX2-5eGFP/w	BAG-hES-IMP-0075
	HES3. MIXL1GFP/+	BAG-hES-IMP-0076
	HES3_NKX2.1-GFP	BAG-hES-IMP-0067
	H7. FOXA2-GFP	BAG-hES-IMP-0080
	H1.CD43/CD144DR	BAG-hES-IMP-0081
	RUES2_GLR	BAG-hES-IMP-0089
	RUES2	BAG-hES-IMP-0057
	RUES2 43CAG	BAG-hES-IMP-0088
	RUES2 48CAG	BAG-hES-IMP-0090
	RUES2 56CAG	BAG-hES-IMP-0091
	RUES2 72CAG	BAG-hES-IMP-0092
	H1-FMR1-KO	BAG-hES-IMP-0073
	H1-FMR1-FLAG	BAG-hES-IMP-0074

Projektergebnis / résultat du projet

Embryonale Stammzellen wurden hauptsächlich im Bereich der Neurobiologie eingesetzt. Neuronale Modelle für das Rett-Syndrom, das Dup15q- bzw. Angelman-Syndrom und die Parkinson-Krankheit wurden zu Neuronen differenziert, um die zellulären Veränderungen, die zu diesen Krankheiten führen, eingehender zu verstehen und um potenzielle neue Medikamente zu erproben. Darüber hinaus wurden diese Zellen genutzt, um die Protokolle zur Erzeugung von Gehirnorganoiden zu verfeinern. Dabei zeigte sich, dass die gleichzeitig geprüften induzierten pluripotenten Stammzelllinien (iPSC-Linien) bessere Ergebnisse lieferten, weshalb die Forschungsarbeiten mit diesen Zellen fortgeführt werden. Im Bereich der Ophthalmologie sind wir noch dabei, die Modelle zu entwickeln, wobei auch hier Versuche mit iPSCs parallel durchgeführt werden.