



Forschungsprojekt mit humanen embryonalen Stammzellen /
Projet de recherche utilisant des cellules souches embryonnaires humaines

R-FP-S-2-0007-0007

Referenznummer / numéro de référence	R-FP-S-2-0007-0007	
Projekttitel / titre du projet	<i>Etablierung humaner Zellmodelle der Neurodegeneration</i>	
Projektstand / état du projet	beendet	
Projektleiter_in / direction du projet	Dr. Miriam Bibel	
Institut, Firma / institut, société	Novartis Institutes for BioMedical Research Klybeckstrasse 141 4057 Basel	
Projektbeginn / début du projet	Februar 2010	
Voraussichtliche Dauer / durée probable	48 Monate	
Ziele des Projekts / but du projet	<p>Humane Stammzellen, die Mutationen des huntingtin Gens tragen, werden zur Etablierung von humanen in vitro Zellmodellen der Huntington Krankheit zur Untersuchung von Krankheitsmechanismen und Testung von Substanzen zur Medikamentenentwicklung eingesetzt. Dazu werden die humanen Stammzellen in Kultur genommen und in Nervenzellen differenziert, die auf Effekte der huntingtin Mutation charakterisiert werden. Diese Effekte werden quantifiziert, um die Wirkung von Substanzen auf diese Effekte testen zu können. Identische Ansätze wurden in unserer Gruppe mit Stammzellen der Maus durchgeführt. Stammzellen der Maus, die verschiedene Mutationen des huntingtin Gens tragen, wurden in Nervenzellen differenziert (Bibel et al., Nat Prot 2008; Bibel et al., Nat Neurosci 2004) und transkriptionale als auch apoptotische Effekte der huntingtin Mutation wurden quantifiziert. In diesen in vitro Zellmodellen der Maus testen wir routinemässig Substanzen zur Medikamentenentwicklung für die Huntington Krankheit. Im Rahmen eines Testsystems zur Messung der Mengen an mutiertem Huntingtin Protein sollen insbesondere Substanzen, die in den in vitro Zellmodellen der Maus positiv getestet wurden, auf die Wirksamkeit in humanen Zellmodellen untersucht werden (in humanen Stammzellen und differenzierten Nervenzellen). Die Identifizierung neuer Substanzen zur Behandlung von Huntington ermöglicht weiter die Selektion neuer Wirkmechanismen zur Behandlung neurodegenerativer Krankheiten wie Alzheimer und Parkinson im allgemeinen.</p>	
Verwendete hES Zelllinien / Lignées de cellules utilisées	H1 (WA01) H9 (WA09)	BAG-hES-IMP-0001 BAG-hES-IMP-0016



H14 (WA14)	BAG-hES-IMP-0033
H7 (WA07)	BAG-hES-IMP-0034
Hues1	BAG-hES-IMP-0035
Hues3	BAG-hES-IMP-0036
Hues5	BAG-hES-IMP-0037
Hues6	BAG-hES-IMP-0038
Hues9	BAG-hES-IMP-0039
Hues12	BAG-hES-IMP-0040
Hues13	BAG-hES-IMP-0041

Projektergebnis / résultat du projet

Das Projekt sollte in der Abteilung Neurodegeneration des Neuroscience Departments der Novartis Institutes for Biomedical Research durchgeführt werden. 2011 wurde das Neuroscience Department geschlossen, wie auch in der öffentlichen Presse mitgeteilt. Mit dem Auflösen des Departments war auch das Projekt abgebrochen und wurde nicht bearbeitet. Alle internen Arbeiten bis 2011 waren auf Maus Stammzellen oder iPS Zellen fokussiert und humane Stammzellen wurden im Rahmen des geplanten Projekts nicht verwendet.