

A BioTalentum Tudásfejlesztő Kft. partnerként részt vesz egy H2020 ERA-NET NEURON nemzetközi projektben, melynek címe: **NDCil: Idegfejlődési ciliopátiák: multimodális megközelítés a molekuláris mechanizmusoktól a betegségre jellemző génváltozatok értelmezéséig és a kezelési stratégiáig.** Az ERA-NET COFUND, illetve EJP COFUND programok közös nemzetközi pályázati felhívásaiban sikeresen szereplő magyar szervezetek számára a hazai finanszírozási keretet az Innovációs és Technológiai Minisztérium a Nemzeti Kutatási Fejlesztési és Innovációs Alapból biztosítja. A 2022. december 21-én hatályba lépett támogatási szerződés értelmében (szerződés száma: 2019-2.1.7-ERA-NET-2022-00031), a hároméves futamidő alatt, a BioTalentum Tudásfejlesztő Kft. összesen **53 356 275 Ft támogatásban** részesül.

A BioTalentum Tudásfejlesztő Kft. **2005-ben alapított vállalkozói kutatóhely.** A vállalkozás fő tevékenységi köre az összeítenyésztést, génmanipulált sejt és állatmodellek előállítását magába foglaló biotechnológiai kutatás-fejlesztés, illetve ezek eredményeinek piaci hasznosítása - orvosi biológiai kutatások, valamint gyógyszertervezés céljára használható új modellek kutatása és létrehozása, valamint tudományos / technológiai szolgáltatások nyújtása akadémiai és gyógyszeripari kutatócsoportok számára. A BioTalentum Kft. partnerként és koordinátorként is részt vett számos **Európai Unió FP6-os, FP7-es, H2020-as projektben,** s már rendelkezik két nyertes **Horizon Europe** pályázattal is.

Az **NDCil projekt a neurológiai betegségek kihívásaira keresi a választ.** Az idegrendszeri fejlődési zavarok a genetikailag öröklődő ciliopátiák közös jellemzői, amelyet a primer csillók rendellenességei okoznak. A szörszerű nyúlványok megtalálhatóak a legtöbb sejt típuson, köztük az idegsejteken és a gliasejteken is. A csillók antennaként működnek, amelyek lehetővé teszik a sejtek összehangolt viselkedését, hogy teljesen működőképes egységet alkossanak. Nagyon keveset tudunk arról, hogy pontosan hogyan vesznek részt az idegrendszer komplex működésének kialakításában és fenntartásában, illetve kevésbé ismert, hogy a ciliopátiás betegeknél előforduló mutációk hogyan befolyásolják a ciliák működését. Ezáltal terápiás stratégiák sincsenek a ciliopátiák kezelésére. A projekt fókuszában a Joubert-szindróma (JS) mint jellemző ciliopátia áll, ahol a kisagy és az agytörzs strukturális fejlődési rendellenessége miatt alakul ki agyi diszfunkció. A projekt céljai a következők: i) a JS hogyan befolyásolja az agyi szerveződés különböző szintjeit; ii) a JS-betegeknél talált mutációk hogyan befolyásolják a csillók génexpresszióját és a sejt-sejt kommunikációt; és iii) a JS tüneteit enyhítő új gyógyszerek azonosítása. A célkitűzéseket a JS-t modellező sejt- és állatmodellekkel - köztük indukált pluripotens őssejtek, eger őssejtek, zebrahal és a gerinctelen *C. elegans* -, valamint a legmodernebb technikák, például a célzott génszerkesztés, a magasszintű képkalkotás, proteomika és az automatizált gyógyszerhatóanyag szelekció segítségével érjük el. A projekt integrált platformot biztosít, hogy a JS, és a JS-betegeknél felfedezett mutációk hogyan hatnak az idegsejtekre, illetve azok működésére. A kutatás során vizsgálunk számos hatóanyagot, hogy potenciális vegyületeket azonosítsunk a JS gyógyítására. A projekt eredményei közvetlen hasznosulnak a betegek diagnózisában, prognózisra, tanácsadására és terápiájára. A kutatásban felállított vizsgálati rendszer a JS mellett más idegfejlődési rendellenességek szélesebb csoportjára is alkalmazható lesz.



NEMZETI KUTATÁSI, FEJLESZTÉSI
ÉS INNOVÁCIÓS HIVATAL

AZ NKFI ALAPBÓL
MEGVALÓSULÓ
PROGRAM