

Abstrakt

Časné genové terapie založené na DNA byly testovány pro terapeutické účely, dříve či později se ovšem objevila řada překážek a rizik spojených s jejich využíváním, což zastavilo další klinické testování. Poměrně nedávno byly tyto metody nahrazeny rychle se rozvíjejícím genovým editováním za pomoci programovaných nukleas, které jsou schopny štěpit specifické sekvence DNA a tak vytvořit přesné genomové modifikace. Jako potenciální terapeutika jsou testovány nukleasy s motivem zinkového prstu (ZFN), dále tzv. „transcription activator-like effector” nukleasy (TALEN) či CRISPR/Cas9 systémy. Největším rizikem, kterému je nutné zabránit, jsou chybná štěpení mimo cílové sekvence. Jako nejvhodnější metoda pro aplikaci do buněk se jeví cílené dopravování nukleas ve formě mRNA. Nanočástice různých typů umožňují přenos mRNA a usnadňují tak dopravování nukleas do buněk. Tato bakalářská práce popisuje některé z těchto nanočástic společně s charakterizací programovaných nukleas.