

Referat wygłoszony w dniu 9 czerwca 2025 r. na posiedzeniu Komisji Nauk Biologicznych Oddziału PAN w Krakowie

**Dr hab. Katarzyna Bocian**  
Zakład Immunologii  
Instytut Zoologii Doświadczalnej  
Wydział Biologii  
Uniwersytet Warszawski  
ul. Miecznikowa 1, 02-096 Warszawa  
e-mail: [k.bocian@uw.edu.pl](mailto:k.bocian@uw.edu.pl)

## **Terapia komórkowa - chimeryczne mioblasty w dystrofii mięśniowej Duchenne'a**

Dystrofia mięśniowa Duchenne'a (DMD) to ciężkie schorzenie, charakteryzujące się mutacjami genu dystrofiny i dysfunkcją mitochondriów, prowadzące do postępującego osłabienia mięśni i przedwczesnej śmierci pacjentów z DMD. Opracowano ludzkie chimeryczne komórki ekspresujące dystrofinę (DEC), powstałe w wyniku fuzji mioblastów od zdrowych dawców i pacjentów z DMD, jako podstawę terapii DT-DEC01 w DMD (M.Siemionow 2023). Badania przedkliniczne na mysich modelach DMD mdx wykazały zwiększoną ekspresję dystrofiny i poprawę czynnościową mięśni serca, układu oddechowego i mięśni szkieletowych po ogólnoustrojowym dożylkowym podaniu DEC. W prezentowanym badaniu określono wykonalność transferu i fuzji mitochondriów w obrębie utworzonych komórek DEC, co jest kluczowe dla opracowania nowych strategii terapeutycznych w DMD. Po barwieniu mitochondriów barwnikami MitoTracker Deep Red i MitoTracker Green, fuzję i transfer mitochondriów oceniano za pomocą cytometrii przepływowej (FACS) i mikroskopii konfokalnej. Fuzja mioblastów od zdrowych dawców (MBN/MBN) oraz dawców zdrowych i

---

chorych na DMD (MBN/MBDMD) za pośrednictwem PEG potwierdziła wykonalność fuzji i transferu mioblastów i mitochondriów. Kolokalizacja barwników mitochondrialnych MitoTracker Deep Red i MitoTracker Green potwierdziła chimeryczny stan mitochondriów i tworzenie chimerycznych mitochondriów, a także transfer zdrowych mitochondriów dawcy w obrębie utworzonych komórek DEC. Odkrycia te są unikalne i istotne, wskazując na potencjał terapii DT-DEC01 w przywracaniu funkcji mitochondriów u pacjentów z DMD i innymi chorobami, w których dysfunkcja mitochondriów odgrywa kluczową rolę (M.Siemionov et.al 2024)