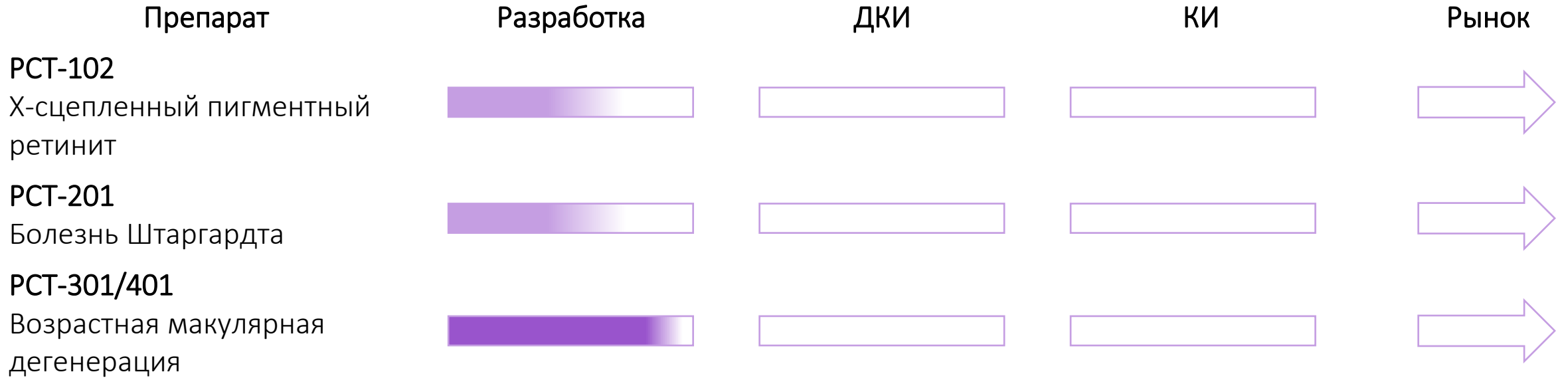


РЕТИНОСТАР

Генная терапия наследственных и возрастзависимых заболеваний сетчатки

ПАЙПЛАЙН



наследственные заболевания сетчатки

Пигментный ретинит – группа редких генетических заболеваний, которые включают в себя разрушение и потерю клеток сетчатки.

Х-сцепленный пигментный ретинит – одна из самых тяжелых форм пигментного ретинита. Ранняя инвалидизация. В 40 лет полная потеря зрения

Распространенность: наиболее надежная современная оценка – **3,4-4,4 случая на 100 000 мужчин**

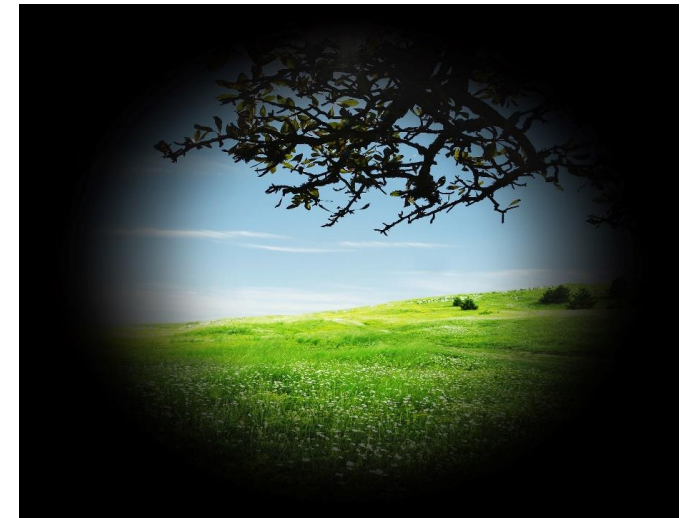
Оценка общего числа пациентов: в России ~2 300-3 000 случаев, в мире ~138 000-178 000,



Никталопия



Норма



Узкое поле зрения

наследственные заболевания сетчатки

Болезнь Штаргардта - самая распространенная наследственная макулярная дистрофия у детей и подростков. Характерна ранняя инвалидизация (10-20 лет)

Распространенность: 1-10.000 (1-17.000)

Оценка общего числа пациентов: в России ~ 18 300/ ~8 600; в мире ~ 1 010 000/ ~475 000



Низкое зрение вдаль, вблизи



Нарушение цветовосприятия

наследственные заболевания сетчатки

Цель проектов: разработка терапевтического препарата с целью замедления/ остановки прогрессии заболевания

Текущие результаты: созданы конструкции, проводится этап тестирования конструкций на клетках

Дальнейшие шаги: тестирование конструкций на линии модельных животных, доклинические исследования на животных, клинические исследования на пациентах, регистрация препарата

Возрастная Макулярная Дегенерация (ВМД) - одна из ведущих причин необратимой потери зрения в мире, особенно в пожилой популяции

Возрастная зависимость: 50–59 лет: ~ **2%**; 60–69 лет: ~ **5–10%**; ≥80 лет: до **25–30%**

Факторы риска: возраст, семейный анамнез, ожирение, высокий холестерин и повышенное артериальное давление, курение



сложно читать



искажения, выпадение поля зрения в центре

в России

в мире

Распространенность **~100-170 тыс.**
неоваскулярная форма

~5.5-6.0 млн.
неоваскулярная форма

Количество
инъекций в год  **~120-200 тыс.**

~35-60 млн.

Цель проекта

Разработка таргетного многокомпонентного генотерапевтического препарата для подавления развития новообразованных сосудов и хронического воспаления в сетчатке

Для достижения желаемого терапевтического эффекта необходима одна инъекция

Текущие результаты

- Создано две конструкции
- Успешно пройден этап работы на клетках
- Завершено исследование проверки концепции на модели ВМД у мышей
- Идет анализ результатов
- По результатам эксперимента выход на ДКИ или доработка конструкции

Дальнейшие шаги

- Получение GMP-партии субстанции и лекарственной формы
- Проведение полного цикла GLP-исследований безопасности (ДКИ)
- Подготовка к началу I фазы клинических исследований



Наша команда



Мария Прибыток
генеральный директор,
руководитель проекта
к.м.н., врач-генетик,
врач-офтальмолог



**Артур Александрович
Исаев**
научный консультант
венчурный инвестор



Милана Джонович
научный консультант
опыт в сфере разработки
генотерапевтических
препаратов и вакцин,
патентования и
биоинформатики



Мария Фролова
молекулярный биолог
менеджер проекта, PhD

Наши партнеры

ФГБУ ГНЦ РФ ИНСТИТУТ БИООРГАНИЧЕСКОЙ ХИМИИ
им. академиков М.М. Шемякина и Ю.А. Овчинникова

Институт Молекулярной биологии
им. В.А. Энгельгардта

Институт Цитологии
и Генетики СО РАН

Благодарю за внимание!