

Kaj je gensko zdravljenje in kakšne bolezni lahko zdravimo na tak način?

Pristop zdravljenja, pri katerem v obolele celice vnašamo gene (DNA ali RNA molekule). Terapevtski učinek dosežemo s popravilanjem genske motnje ali z izražanjem terapevtsko učinkovitih molekul RNA ali proteinov. Zdravimo lahko genske bolezni, zlasti, če so enogenske in recesivne (dobro definirane mutacije na enem samem genu, pri recesivni bolezni moramo k dvema okvarjenima kopijama gena vnesti neokvarjeno kopijo gena, medtem ko moramo pri dominantni bolezni, okvarjen gen odstraniti oz. utišati in vnesti pravilno delujočo kopijo). Širše gledano pa tudi pridobljene genske bolezni (npr. rak) in infektivne bolezni.

Katere bolezni lahko zdravimo s protimikrobnimi peptidi? Naštej 3 prednosti in 3 slabosti teh peptidov.

Zdravimo lahko akne, diabetične rane, opekline, atopični dermatitis.

Prednosti: sposobnost hitrega uničenja tarčnih celic, nenavadno širok spekter delovanja, aktivnost proti nekaterim najbolj rezistentnim patogenom v medicini, realitvno majhna verjetnost razvoja rezistence, možnost tehnologije rekombinantnega pridobivanja s pomočjo bakterij in rastlin.

Slabosti: Lahko pride do proteolize peptida, občutljivost na fiziološke koncentracije soli, slabe transportne lastnosti, kratek rapolovni čas, draga kemijska sinteza, malo podatkov o toksičnosti.

Kemijske metode za lažjo dostavo peptidov?

Z optimizacijo formulacije in karakteristik peptidov. Dodajanje ojačevalcev perkutane penetracije (kemični ojačevalci prehoda - etanol, terpen, ..., majhni peptidi), kapsuliranje (mikrosfere, liposomi, nanodelci, transferosomi, niosomi, vezikli) in kemična modifikacija (lipofilni derivati peptidov)

Kako peptidi vplivajo na staranje oz. odpravljanje gub?

V kozmetiki poznamo tri vrste peptidov: signalne, nosilne, ti dvoji vzpodbujajo nastanek kolagena in z delovanjem na živčne prenašalce, ki delujejo tako da relaksirajo mišice.

Kako rastni dejavniki prehajajo v kožo?

Ker so zelo veliki skozi nepoškodovano kožo ne morejo, majhne količine pa lahko prehajajo preko znojnic, lasnih foliklov, poškodovane ali suhe kože.

Katere nečistoče so povezane s proizvodnjo in katere s fiz-kem nestabilnostjo produkta?

Nečistoče povezane s proizvodnjo: Tiste, ki izhajajo iz ekspresijskega sistema: virusi, proteini in DNA ekspresijskih sistemov, endotoksini. Iz tehnologije proizvodnje in čiščenja: komponente gojišča, induktorji

ekspresije, protipenilci, hormoni, rastni dejavniki, reagenti pri čiščenju, kovinski ioni, materiali iz kolon, inhibitorji proteaz, plini, voda. Povezane s F-K nestabilnostjo proteinov: oksidacija, deamidacija, tvorba in razcep disulfidne vezi, hidroliza, denaturacija, glikolizacijski vzorci, substitucija in delecija AK, N- in C-končna heterogenost.

Katere vrste monoklonskih teles poznamo (glede na vsebnost mišjega in človeškega dela) in kako so imunogena glede na to?

Poznamo: mišja (celotna Ig regija je mišja), himerna (le variabilni del Ig je mišji, ostalo je človeško), humanizirana (le del variabilnega dela Ig je mišji, ostalo človeško) in humana (celoten Ig je človeški). Imunogenost pada od mišjih proti humanim. Več Ig kot je človeškega, manjša je imunogenost.

Pridobivanje mišjih mAb

Miško imuniziramo z izbranim antigenom in potem iz njene vranice izoliramo plazmatke, istočasno in vitro gojimo mielomske celice. Dodamo virus/polietilen glikol in naredimo fuzijo plazmatk in mielomskih celic. Dobimo hibridom - nesmrtno celično linijo, ki je sposobna proizvajati mAb. Nato presejemo hibridome (identifikacija željenega klona) in namnožimo izbran klon, pride do ekspresije mAb, ki jih potem izoliramo.

Delovanje botulinum toksina.

Deluje tako, da preprečuje prenos (acetilholina) signala v živčno mišični sinapsi - onemogoča krčenje mišic.

Opredeli pojme:

Transfekcija: proces vnosa DNA v evkariontsko celico z nevirusnimi metodami (elektroporacija, mikroiniciranje,..)

Transdukcija: vnos DNA enkapsulirane v virusne/bakteriofagne delce v gostiteljske celice

Transformacija: privzem gole DNA v gostiteljsko celico. Sposobnost celice, da prevzame DNA pa je kompetenca.

Genepharming

Pridobivanje rekombinantnih (gliko)proteinov s pomočjo živalskih celic oz. transgenih živali.

Kako pridobivamo hialuronsko kislino?

Pridobivanje z izolacijo in fermentorsko BTH.

Kakšne so možnosti za izboljševanje trans in intra epidermalnega vnosa učinkovin?

Mikroigle, laser, piling - da pride do mikropoškodb, prek katerih učinkovine vstopijo v kožo.

Povečanje lipofilnosti spojine (logP 1-3), zmanjšanje velikosti (fragmentiranje), zagotovimo da spojina ni nabita (pKa), kapsuliranje (lipsomi ...), dodaten pospeševalcev penetracije (etanol ...), kemična modifikacija (lipofilni derivati) ...