

## Az Enzimológiai Intézet középtávú stratégiai terve (2016-2019)

Az MTA Enzimológiai Intézete, 1950-ben történt alapítása óta, a hazai szerkezeti biokémiai kutatások egyik kiemelkedő műhelye. Az alapító Szörényi Imre által meghatározott, majd Straub F. Brunó vezetése alatt kifejlődött egységes tematikából, mely az enzimszerkezet és biológiai funkció összefüggéseire alapozódott, Keleti Tamás, de különösen Friedrich Péter és Závodszy Péter irányítása alatt mára sokszínű tematika alakult ki. Ezt egészítették ki a közelmúltban az MTA TTK korábbi Molekuláris Farmakológia Intézetéből érkező kutatócsoportok kutatási témái, amelyekkel az intézeten belül megerősödtek a gyógyszerhatások molekuláris szintű biológiai alapjainak vizsgálatát célzó felfedező kutatások. Az élettani és patológias folyamatok biológiájának vizsgálata mára az EI kutatási portfóliójának meghatározó elemévé vált. Ennek megfelelően az intézet stratégiája magában foglalja:

- 1). Világszínvonalú felfedező kutatások végzését a biológia, kémia, biofizika és bioinformatika területén
- 2). Együttműködés orvostudományi centrumokkal, egyetemekkel és vezető gyógyszergyárakkal az emberiséget érintő legfontosabb betegségek leküzdésére
- 3). Részvétel a graduális és posztgraduális oktatásban és a tudományos továbbképzésben

Az Enzimológiai Intézetben jelenleg 17 munkacsoport dolgozik, ezek közül 2 befejezett, míg 6 folyó Lendület-támogatás nyertes. További kiemelt pályázatok között említést érdemelnek a NAP-A, az ERC és VKSZ támogatások. Összefoglalva megállapítható, hogy az intézet működése stabil tudományos és gazdasági alapokon nyugszik.

Az MTA TTK Enzimológiai Intézet középtávú célkitűzése az orvos-biológiai kutatások irányába történő továbbépítés. Ezt támasztja alá, hogy az EI korábbi történetében a legsikeresebb munkacsoportok klinikai együttműködések, illetve témákat alakítottak ki (Patthy László – véralvadás, Závodszy Péter – immunológia, komplement rendszer, Váradi András – multidrog rezisztencia). Szintén emellett szól, hogy az emberiséget számos modernkori betegség érinti, amelyek kezelése nélkülözhetetlen a hosszú és jó minőségű élettartam biztosításában. Végezetül pedig a kutatási terület mind az EU-s, mind a hazai kutatási prioritások és források szempontjából kedvező. Az orvos-biológiai kutatások irányában való elmozdulást jelzi, hogy az intézetben új együttműködések, platformok alakultak ki. Ilyen az Onkoplatfom (Szüts, Gyórfy, Buday, Szakács, Reményi, Tusnady csoportok), vagy a Kinázplatform (Gál/Závodszy, Reményi, Buday). Ezek az együttműködések még hatékonyabbá teszik a kutatást, mind szakmai, mind pénzügyi szempontból.

Az elkövetkező években az intézet meghatározó szerepet kíván játszani olyan témakörökben, mint a proteomika vagy az individuális medicina. Ennek megvalósítására elindultak a tárgyalások a Semmelweis Egyetemen, az Eötvös Loránd Tudományegyetemen, illetve az MTA Szegedi Biológiai Központjával egy konzorcium létrehozására. Ez a konzorcium lehetőséget adna arra, hogy az intézményekben szétszórta infrastruktúrát közösen tudjuk kihasználni, illetve a témakörben megjelenő VKE pályázatokon együtt szerepeljünk. Magyarországon sajnos nem megoldott a bioinformatikához, individuális medicinához (pl. teljes genom vagy exon szekvenálás) értő szakemberek képzése. A felálló konzorcium azt is céljai közé tűzte, hogy mind a Semmelweis, mind az Eötvös Loránd Tudományegyetemen beindítja e képzési formákat. Ehhez elnyertük a két egyetem meghatározó személyiségeinek támogatását.

Fontosnak érezzük, hogy az intézet a PhD hallgatók képzésében is nagyobb szerepet vállaljon. Erre jó lehetőséget kínál a látványosi egyetemi kampusz és az MTA TTK által kötött kétoldalú egyetemi keretszerződések. Mindezek megfelelő alapot adnak ahhoz, hogy az MTA TTK, benne az Enzimológiai Intézet vezető szerepet játsszon a magyar biokémiai, molekuláris biológiai közélet formálásában.

Az intézet alapkutatási eredményeinek hasznosítására együttműködések jöttek és jönnek létre különböző kis- és nagyvállalatokkal. Az utóbbi években az intézet aktív módon közreműködött a Richter Gedeon NyRt-vel, valamint szoros kapcsolatot alakított ki számos kisvállalattal (Vichem Chemie Kutató Kft., Targetex Kft., Pharma-Trend-Biotechnológia Kft, Toxi-Coop Toxikológiai Kutatóközpont Zrt., KTT Kft., Zymo Research Corporation/Zymo Research Europe GmbH stb.). Fontos feladatuknak tekintik a magyar tudomány eredményeinek

nemzetközi szinten történő képviselését, amit nemzetközi pályázatok résztvevőiként és nemzetközi szervezetekben viselt tisztségek útján valósítanak meg.

Az Enzimológiai Intézetben számos tudományterületet átfogó, interdiszciplináris kutatások folynak, melyek során mind a biológia, mind fizika és a kémia tudománya által kínált lehetőségek alkalmazásra kerülnek. A kutatóhelyen részben szerkezeti biológiai alapkutatások folynak, melyek lehetővé teszik a fiziológias és patofiziológias folyamatok sejt és molekula szintű értelmezését, másrészt a szerkezet biológia mellett folyamatosan bővül a kutatási tevékenység a komplex biológiai folyamatok megértését célzó rendszerbiológia irányába proteomika és bioinformatika lehetőségeinek kihasználásával. Így többek között vizsgálja a sejtekben zajló jelátviteli utakat, a rendezetlen fehérjék működését, a komplementrendszer aktiválódási mechanizmusait molekulaszervezeti alapon, a daganatos és neurodegeneratív betegségek kialakulásához vezető egyes folyamatok, a transzmembrán fehérjék szerepét, valamint a DNS hibajavításban szerepet játszó enzimeket.

### **Az intézet stratégiai céljainak és cselekvési tervének meghatározása**

A **Jelátviteli és Funkcionális Genomikai Kutatócsoport** 2016-2019 közötti időszakban folytatja a korábbi sikeres stratégiáját: párhuzamosan végznek bioinformatikai, evolúciobiológiai és kísérletes molekuláris biológiai kutatást. Kísérleti munkájukban folytatják két, orvos biológiai szempontból fontos jelátviteli rendszer kutatását. Az embrionális fejlődést, sejt proliferációt és differenciációt (Wnt/WIF-1), valamint az izomfejlődést befolyásoló (Miosztatin/WFIKKN2 és WFIKKN2) fehérjék vizsgálatára kívánnak fókuszálni.

Az állványfehérjék kutatása területén vizsgálni kívánják a Caskin1/Caskin2 dupla génhányos egeret, mely előzetes adataik szerint rosszul tejesít kognitív teszteken. A Tks4 génhányos eger tekintetében vizsgálni fogják, hogy az eger zsírszövege miért csökevényes, illetve, hogy a csökkent zsírszövetnek milyen hatása van az eger általános anyagcseréjére. Tovább szeretnék kutatni, hogy az SH3 domének tirozin foszforilációja milyen szerkezeti és biológiai változásokat eredményez.

A **Sejtarchitektúra Kutatócsoport** célja a közeljövőben annak felderítése, hogy a TPPP/p25 MT-sal illetve a tubulin deacetilázokkal alkotott fiziológias komplexei milyen szerepet játszanak az autofagoszómák érési folyamatában, képesek-e koordináló szerepet betölteni a sejtvédő rendszerek működésében, továbbá hogy a TPPP/p25 és a SYN intracelluláris felhalmozódása, ami a színukleinopátiák jellemzője, mennyiben és milyen módon befolyásolja a beteg sejtek védekező (méregtelenítő) potenciáját. A komplex folyamat mechanizmusának feltárása alapvetően szükséges szelektív anti-színukleinopátiás gyógyszermolekulák azonosításához. További terv az UCL Institute of Ophthalmology (London) intézettel való együttműködés folytatása, melynek során a TPPP/p25 specifikus expresszióját azonosították a retina bizonyos típusú amakrin sejteiben. A projekt célja annak meghatározása, hogy ez a jelenség összefüggésbe hozható-e bizonyos szembetegségekkel, mint pl. makuladegeneráció. Egy elbírálás alatt lévő H2020-MSCA-ITN-2016 projektben, kapcsolódva a TPPP/p25 betegség orientált hatásának megismerését célzó kutatásaikhoz, ún. 3D spheroid sejt vonalak létrehozását vállalták, melynek révén lehetővé válik a MT asszociált fehérjéknek (TPPP/p25, HDAC6 és SIRT2) a MT rendszer dinamikájára és stabilitására való hatásának szövet-szintű jellemzése.

A **Fehérjeszerkezet Kutatócsoportban** a közelmúltban végzett tevékenység folytatásaként továbbra is központi feladat marad a rendezetlen fehérjék vizsgálata. Ezen belül rendezetlen fehérje szakaszok egymás közötti kölcsönhatását igyekeznek leírni, majd a kölcsönható partnereket az aminosav sorrendből becsülni. Megvizsgálják, hogy ez a kölcsönhatási jelenség milyen szerepet játszhat a rendezett fehérjék szerkezet kialakulása, a folding folyamat során. Ezzel párhuzamosan folytatják a rendezett fehérjéken jelenleg is végzett vizsgálataikat. Az időszak végére megpróbálnak egységes leírást adni a különböző típusú fehérjék szerkezet szerveződésére.

Ahhoz, hogy egy gyógyszermolekula a szervezeten belül célba érjen, át kell haladnia számos szöveten és a sejteket határoló membránon. A farmakológiai barrieréken való áthaladást alapvetően meghatározzák a sejtmembránban található transzporterek. A **Membrán Fehérje Kutatócsoport** célja az uptake és az efflux transzporterek átfogó vizsgálata, melyek befolyásolják a gyógyszerek felszívódását, szervezetből való kiürülését, vagy a tumorokban történő felhalmozódását. További cél az MDR-szelektív vegyületek preklinikai fejlesztése. A Horizon 2020 keretprogram segítségével felálló EU-OPENSREEN célja, hogy katalizálja az Európában folyó akadémiai gyógyszerhatóanyag fejlesztési projekteket. Az MTA TTK a jelenleg 16 európai tagországot tömörítő konzorciumnak a hazai központja. A Membrán Fehérje Lendület Kutatócsoport által kiépített HTS labor műszeres és szakmai tudásbázisa kiemelt szerepet játszik a TTK uniós EU-OPENSREEN projekthez való csatlakozásában. Az *in vivo* vizsgálatokhoz beállított Brca1-/-, p53-/- kettős mutáns egerekből származó, szeriális ortotopikus transzplantációval propagálható spontán tumor modell számos további projektet indított el. Céljuk, hogy a tumorokból primer sejttenyészeteket, később sejt vonalakat hozzanak létre, melyek genetikai manipulációjával vizsgálni kívánják a tumorok drogrezisztenciájának molekuláris hátterét.

A **Genomstabilitás Lendület Kutatócsoport** elsősorban a tumorgenomika területén kíván kutatni az elkövetkező években. A daganatokra jellemző a DNS-javító mechanizmusok hibája, mely a daganat genomjában felismerhető mutációs mintázatokat okozhat. Céljuk az ezen mintázatokért felelős folyamatok megismerése, részben sejtenyészetes tumormodellek segítségével, részben klinikai tumorminták genomiális elemzésével. A daganatokra jellemző molekuláris mechanizmusok feltárása, illetve a genomszekvenálással egyszerű diagnosztikai módszerek felállítása a kezelés kiválasztásához is támpontot adó, hasznosítható eredményeket szolgáltat. Vizsgálni tervezik továbbá a DNS-javítás hibái miatt a kemoterápiára érzékeny sejtekben a rezisztencia kialakulásának mechanizmusait, génmódosított sejtvonallakkal modellezve a tumorsejteket.

A **Rendezetlen Fehérje Kutatócsoport** az elkövetkező években az eddigi, szerteágazó kutatási irányok helyett egyetlen, nagyobb témára, a fúziós fehérjék szolid tumorokban betöltött szerepére fog összpontosítani. A 2016. év folyamán elkezdik a szolid tumorokban szerepet játszó fúziós fehérjék bioinformatikai elemzését, mely meg fogja teremteni az alapját a következő évek során kezdődő kísérletes munkának. Alapvető céljaik közé tartozik a rendezetlen fehérjeszakaszok szerepének megértése a fúziós fehérjék kialakulásában és aberráns működésében. Emellett terveik között szerepel, hogy felmérjék, milyen változások következnek be az egyes fehérjék interakciós hálózatában a fúziós esemény következtében. Munkájuk eredményeképpen új gyógyszer-célpontokat, illetve új gyógyszerfejlesztési stratégiákat tudnak majd javasolni fúziós fehérjék által okozott szolid tumoros megbetegedések esetében.

Az **Aktív Transzport Fehérjék Kutatócsoport** klinikai kipróbálást támogatandó elvégzi az Angers PXE-betegcsoportban talált leggyakoribb misszensz mutációk preklinikai vizsgálatát. Az ABCC6-mediálta meszesedés metabolikus háttérében az alacsony plazma pirofoszfáz (PPi) szint áll. Egy nemzetközi összefogás keretében kidolgozzák a plazma PPi diagnosztikai célú meghatározásának módszertanát. A puhaszöveti kalcifikáció egyik kevésbé kutatott, ámde fontos területe a nagyobb sérülés, égés után bekövetkező, a sebgyógyulást akadályozó helyi intenzív meszesedés. Ennek metabolikus és sejtbiológiai okait tervezik feltárni. Mindenekelőtt a jelenség vizsgálatára alkalmas állatmodellt fognak létrehozni, valamint feltárják a mezenchimális őssejtek szerepét. A munkacsoport érdeklődése a metabolikus folyamatok részletesebb tanulmányozása felé is irányul. A rendelkezésre álló egérmodellekben a táplálkozási stresszek hatására kialakuló teljes genomi epigenetikai és transzkripciós változásokat fogják megvizsgálni.

A **Genom Metabolizmus Kutatócsoport** vizsgálni szeretné a genomi integritásban fontos dUTPáz enzimcsalád makromolekuláris és kismolekulás komplexeit; emlős (egér, CHO, humán) tumorsejtvonalak és normál sejtvonalak uracil-DNS metabolizmusát (a kemoterápia által kiváltott útvonalak jellemzése, genommérnökséggel, siRNS és egyéb technológiákkal perturbált sejtvonalak genom integritási útvonalainak vizsgálata); *Staphylococcus aureus* törzsek uracil-DNS metabolizmusát; *Mycobacterium* genomi integritását a dNTP szintek és az uracil-DNS metabolizmus perutbálása során; valamint fehérje-természetű inhibitorok fejlesztését tervezik dUTPáz ellen. Vizsgálni tervezik továbbá a foszfolipid bioszintézist, ezen belül a *Plasmodium falciparum* CTP:foszfokolin citidilil-transzferáz (PfCCT) enzimet: PfCCT szerkezet-funkció vizsgálatai; PfCCT fehérje doménjei sejtbeli funkcióinak azonosítása; emlős sejtmodell létrehozása olyan PfCCT-specifikus inhibitorok fejlesztésére, melyek az emlős gazdaszervezetet nem gátolják.

A **Szerkezeti Biofizika Kutatócsoport** folytatja a komplementrendszer aktiválódásnak és fiziológiai/patológiai szerepének részletes feltárását. A Semmelweis Egyetem kutatóival együttműködésben vizsgálják a lektin út aktiválódásának az erek tónusára és funkciójára kifejtett hatását. Ugyancsak fontos alapkutatói kérdés a három komplement aktiválódási útvonal (klasszikus, alternatív és lektin) közötti kölcsönhatások megismerése. Az ELTE Biokémiai Tanszékének kutatóival együttműködésben specifikus gátlószereket fejlesztenek a klasszikus és az alternatív út indító enzimeit (C1r, C1s, D-faktor) ellen. Specifikus gátlószerek birtokában betegségek állatmodelljeiben vizsgálják a komplementrendszer különböző aktiválódási útvonalainak szerepét a betegségek kialakulásában.

Laboratóriumukban egy új kutatási irányt is indítottak a közelmúltban. Tumorokban és gyulladási folyamatokban jelentős szerepet játszó kinázok és kölcsönható partnereinek fehérje-fehérje kölcsönhatásait tervezik jellemezni szerkezeti biokémia módszerekkel, valamint kismolekulás gátlószerekkel befolyásolni. A vizsgálatokat a tumorokban gyakran inaktivált Rassf1A tumorszuppresszor, illetve a Rho asszociált kináz-2 (ROCK2) jelátviteli útvonalához tartozó fehérjék kölcsönhatási hálózatán végzik. A rekombinánsan előállított fehérjék (valamint csonkolt, illetve mutáns változatai) közötti kölcsönhatásokat biofizikai és biokémiai módszerrel vizsgálják, a kölcsönhatási felszíneket szerkezeti módszerekkel meghatározzák, majd a tervezett kismolekulás inhibitorok jelátvitelre gyakorolt hatását *in vivo* ellenőrzik.

A **Membránfehérje Bioinformatika Lendület Kutatócsoport** a következő években szeretné befejezni a transzmembrán fehérjék szerkezet meghatározására alkalmas bioinformatikai és kísérletes módszerek fejlesztését, amely a Lendület pályázat része volt. Három területen szeretnének még eredményeket elérni: olyan nagy áteresztő képességű topológia adatokat szolgáltató kísérleti módszer kidolgozásában, amelynek segítségével a topológia becslő algoritmusok pontossága nagy mértékben növelhető. A transzmembrán fehérjék fold felismerő eljárásnak továbbfejlesztésében, hogy atomi koordináta pontossággal tudjuk modellezni ezen fehérjék szerkezetét, illetve egy speciális szekvencia illesztő módszer kidolgozásában. Szeretnének több új területen is vizsgálatokat indítani, így a transzmembrán fehérjék transzkriptom analízisében, ahol össze tudnák kapcsolni a topológia becslés során megszerzett tudásukat az újgenerációs szekvenálási adatok feldolgozásával.

A **Molekuláris Sejtbiológiai Lendület Kutatócsoport** vizsgálni fogja a sejt polaritást szabályozó kinázok szerepét, az ABCB11 és ABCG2 transzporterek betegségét (intrahepatikus kolesztázist, illetve köszvényt) okozó mutáns variánsainak defektusát, valamint ennek kijavításának lehetőségét kémiai chaperonok alkalmazásával. Tanulmányozni fogják az indukált pluripotens őssejtekből (iPSC) nyert különböző leánysejtek sejtbiológiai tulajdonságait és felhasználásukat betegségmodellekben, elsősorban az idegi progenitor sejtek regenerációs potenciáljára és az iPSC-alapú skizofrénia modell fenotipikus jellemzésére összpontosítva. A csoport tervei között szerepel a CRISP-R technológiában rejlő lehetőségek kiaknázása a pluripotens őssejtek és az azokból nyert leánysejtek vizsgálatában, valamint a pluripotens őssejt-alapú betegségmodellek vonatkozásában. A csoport folytatni kívánja a vérésejtek membránfehérjéinek vizsgálatában megkezdett munkát, azok diagnosztikai célú felhasználásának lehetőségét kutatva különböző betegségekkel (mieloma multiplex, diabetes, Alzheimer betegség, köszvény) összefüggésben.

Már elnyert és beadás alatt álló pályázatok alapján a **Biomembrán Kutatócsoport** folytatni kívánja a membránfehérjék kifejeződésének, szabályozásának és működési mechanizmusának kutatását, elsősorban az ABC transzporterek szerepét kutatva normális és daganatos őssejtekben. Ugyancsak elemzik a *Mycobacterium* ABC transzporterek szerepét a gyógyszer-rezisztens tuberkulózis kialakulásában. Feltárni kívánják a transzpozon alapú génbeviteli eljárások és a CRISP-R rendszerrel végezhető géneeditálás új lehetőségeit, speciálisan módosított emlős sejt vonalakat, őssejteket és transzgenikus állat-modelleket hoznak létre. Új módszerek bevezetésével elemzik a mikroRNS-ek processzálását, valamint azok szabályozó szerepét az őssejtekben, betegség-modellekekben, valamint a membránfehérjék kifejeződésében.

A **Metabolikus Gyógyszer-kölcsönhatások Kutatócsoport** májtranszplantált betegeknél szerzett tapasztalatok alapján vizsgálni tervezi, hogy a gyógyszer-lebontó képességhez (CYP-státushoz) igazított terápia (megfelelő gyógyszerválasztás és dózis-optimalizálás) milyen előnyökkel jár vese-, illetve szívtűltetésen átesett betegek számára. Szisztematikusan feltérképezik a gyógyszer-metabolizmusban résztvevő CYP enzimek szerepét a pszichiátriai betegek kezelésében leggyakrabban alkalmazott antipszichotikumok, hangulat-stabilizálók és antikonvulzánsok metabolizmusában. Vizsgálják, hogy a CYP polimorfizmus (genetikai és nem-genetikai természetű variációk) milyen mértékben járul hozzá a gyógyszer hatékonyság és toxicitás egyéni eltéréseihez. Patkány-modellen és betegeken tanulmányozzák a máj-sebészeti beavatkozások (portális véna-okklúzió/embolizáció) hatására bekövetkező atrófia - hipertrofia (regeneráció) okozta változásokat, amelyek a gyógyszeres terápia jelentős módosulását eredményezik, különösen a korai posztoperatív időszakban.

A **Fehérje Kölcsönhatás Lendület Kutatócsoport** kutatásainak középpontjában a jelátviteli folyamatokhoz kapcsolható sejten belüli fehérje-fehérje kölcsönhatások vizsgálata áll. A jövőben olyan fehérje-fehérje komplexekre fognak fókuszálni, melyeknek betegségek (pl. rák és gyulladás) kialakulásában van fontos szerepük. A komplexek fehérje-fehérje kölcsönhatásait specifikus módon tervezik gátolni. Ehhez azokat a biokémiai és sejtes alapú esszéket fogják használni, amiket az utóbbi években fejlesztettek ki fehérje kinázok és partner fehérjék egymás közötti kölcsönhatásainak detektálására. Céljuk tehát olyan kis molekulás vezérvegyületek felfedezése, melyek ismert fehérje interakciós felszínhez kötődve gátolják bizonyos jelátviteli komplexek összeszerelődését. Ezzel párhuzamosan a fehérje kináz alapú rendszer biológiai vizsgálataikat kiterjesztik olyan MAP kináz célfehérjék azonosítására, melyekben olyan rövid lineáris motívumot tartalmazó régiók vannak, amik foszforiláció hatására megváltoztatják a teljes fehérje más fehérjével alkotott kölcsönhatási képességét, funkcióját. Céljuk, tehát olyan foszforilációtól függő fehérje-fehérje kölcsönhatások felfedezése, melyek a MAP kináz alapú jelpályák szabályozása alatt állnak.

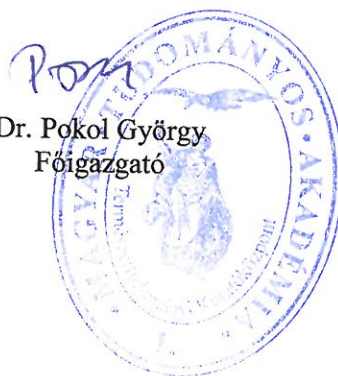
A **Reprodukció Rendszerbiológiája Lendület Kutatócsoport** a vetélések és terhességi kórképek kialakulásában központi szerepet játszó jelátviteli útvonalak felderítését és karakterizálását folytatja. Ezek jelentőségét az adja, hogy a terhességek 70%-a, a klinikailag felismert terhességek 15%-a végződik vetéléssel, és a várandósok 25%-ánál lép fel az anya és/vagy magzata egészségét veszélyeztető egyéb kórkép. A kutatások központjában az anyai-

magzati immuntolerancia, trophoblast invázió és differenciáció összetett és egymással összefüggő zavarainak rendszerbiológiai vizsgálata áll. A kutatások eredményeképpen a kórfolyamatok molekuláris útvonalainak és szabályzási hálózatainak leírására, valamint új biomarkerek és gyógyszer-hatáspontok azonosítására nyílik lehetőség. További tervek között szerepel - a már meglevő, illetve kialakítandó kollaborációs kapcsolatokra építve - a kutatási téma kiszélesítése, újabb hazai és nemzetközi pályázatok elnyerése, valamint ipari kapcsolatok kialakítása.

Az **Onkológiai Biomarker Lendület Kutatócsoport** az *automatizált túlélés-elemzést* ki akarja terjeszteni további tumortípusokra (gyomorrák, melanoma), valamint az mRNS vizsgálat mellett micro RNS-eket is be fognak vonni. A genotípus alapján nem csak egyes géneket akarják vizsgálni, hanem létre akarnak hozni egy olyan rendszert, amely közvetlenül *egy beteg esetében tud prognózist* mondani. Ehhez megvizsgálják, hogy milyen mutációs mintázata van az adott tumornak, majd azt elemzik, hogy mi történt a hasonló mintázatot hordozó tumorokkal. Szintén terveznek létrehozni egy olyan platformot, amely egyes kezelések (génelcsendesítés, génbevitel és gyógyszerek kezelés) *off-target hatásainak vizsgálatát* teszi lehetővé transzkriptomikus szinten. Ezen rendszerek használatával a meglevő, több nemzetközi kollaborációs hálózatot elsősorban *klinikai és transzlációs kutatások* irányába szeretnék kiterjeszteni. Végezetül céljuk *gyermekonkológiai projektek indítása*, amelyben azon magas halálozású, elsősorban központi idegrendszeri tumorokra terveznek fókuszálni, amelyekre célzott molekuláris terápia még nem érhető el.



Dr. Buday László  
Intézetigazgató



Dr. Pokol György  
Főigazgató

Budapest, 2016. május 10.

