



CRISPR-CAS9



Ciências
ULisboa

Engenharia Genética

Alexandra Rusu n°49242 | Cláudia Ferreira n°49347 | Inês Gomes n°49325 | Ricardo Rodrigues n°48811

CRISPR-CAS9

Clustered
Regularly
Interspaced
Short
Palindromic
Repeats

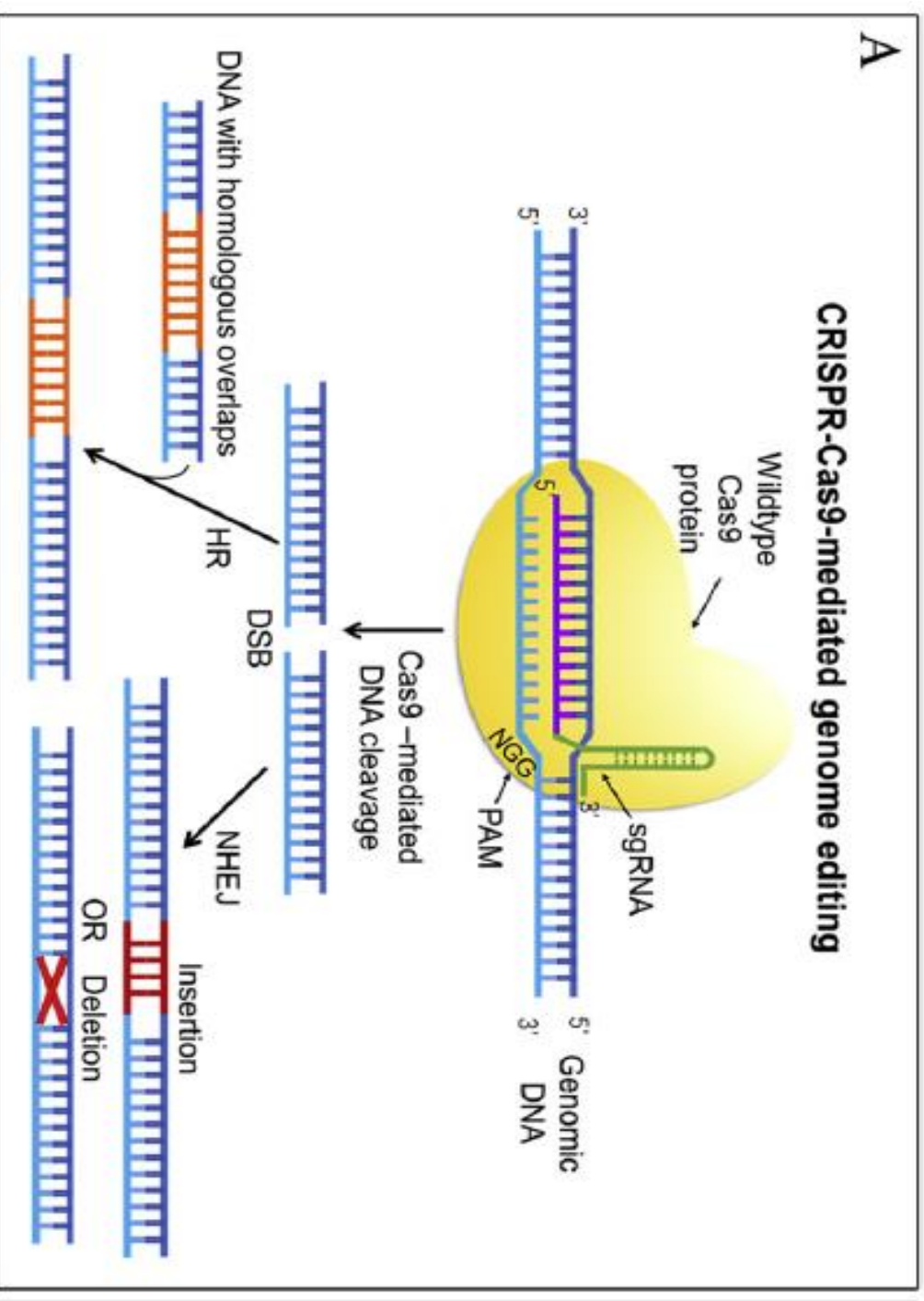
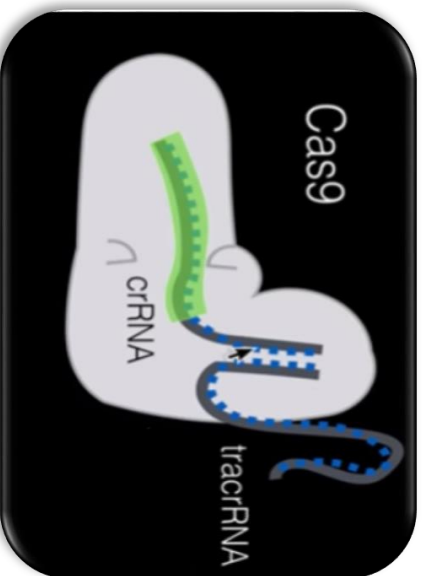
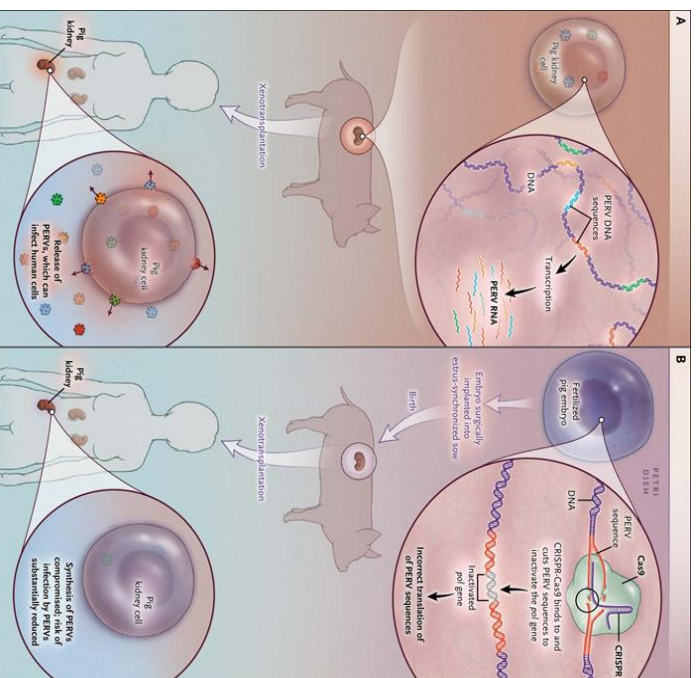


Fig. 1. CRISPR tools for genome editing. CRISPR interference and CRISPR activation. (A) CRISPR-Cas9-mediated genome editing. Cas9 protein complexes with sgRNA and binds the target site of genomic DNA, creating a double-strand break (DSB) at 3 or 4 nucleotides upstream of the PAM sequence. DSB is repaired by Non-homologous end joining (NHEJ) or Homologous recombination (HR). In NHEJ, random insertions and deletions are introduced into the genome. In HR, precise mutations are integrated into the target genomic location by providing a donor sequence that has homology arms with the DSB site.

APLICAÇÕES

Tratamento de doenças humanas em modelos animais (edição genômica *in vivo*)

Correção dos alelos associados à doença

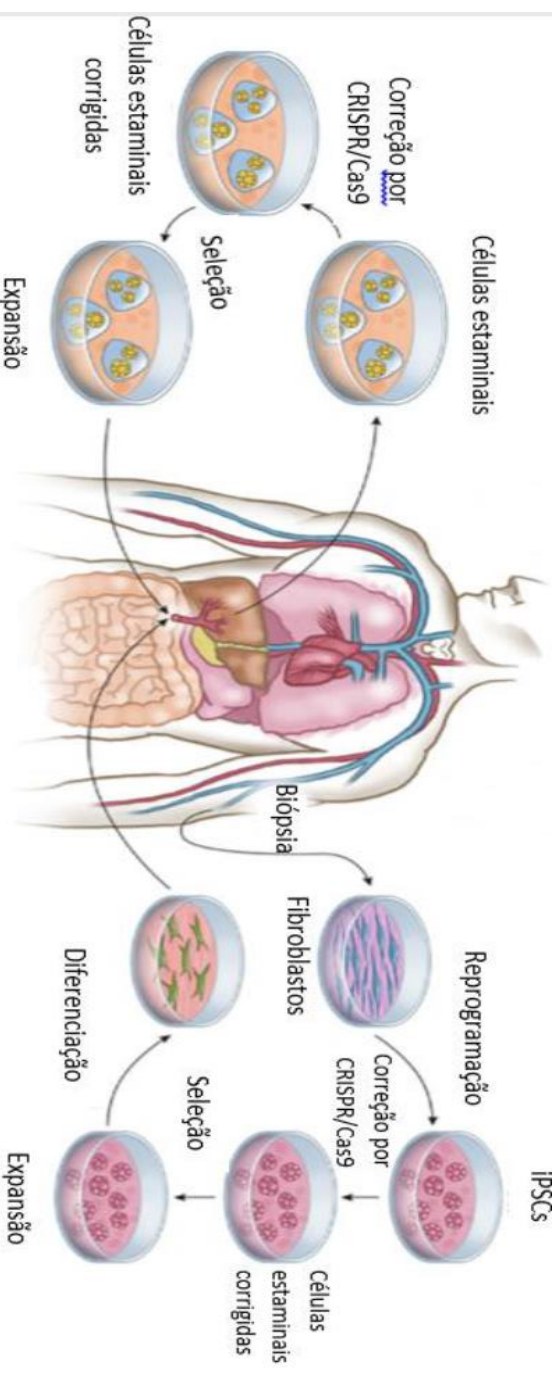


Terapia celular (edição genômica *ex vivo*)

Edição genômica de células T de pacientes com cancro ou doenças autoimunes
 Edição genômica de iPSC e HSC para tratamento de doenças

Biossíntese de produtos metabólicos de interesse

Por eliminação ou atenuação de vias metabólicas competidoras e reprogramação de sinais celulares



Fibrose Cística

