



Project 3: CRISPR/Cas9-based therapeutics for Friedreich's ataxia

O laboratório está inserido no Center for Human Genetic Research (Massachusetts General Hospital / Harvard Medical School) e tem como interesses de investigação os mecanismos genéticos e moleculares causadores de doenças neurodegenerativas como a Ataxia de Friedreich Ataxia (FA) e a doença de Huntington (HD).

FA é uma doença genética rara causada por uma repetição de trinucleótidos GAA que quando expandida resulta num silenciamento genético e conseqüente redução nos níveis de frataxin.

Em particular, o projeto deste estágio envolve o uso de modelos celulares e técnicas de engenharia genômica com o objetivo de aliviar o silenciamento genético na origem de FA.

O Estagiário vai ser treinado numa série de técnicas laboratoriais de forma a conduzir experiências preliminares que visam desenvolver e validar reagentes capazes de ativar de forma específica a expressão do gene frataxin. Tais técnicas incluem elementos básicos de biologia molecular (extração de DNA, PCR, quantificação de expressão genética, gel eletroforese), cultura de células humanas, transfeções, e CRISPR Cas9.

