

基因治疗解决方案

腺相关病毒 (AAV) 实验方案

用于 AAV 分析方法开发的发光, 基因组学及蛋白质组学实验方案。

慢病毒转导工具

支持基于慢病毒载体的基因治疗开发的新型实验方案。

RNA 疗法

用于 RNA 生物学, mRNA 疗法开发等的酶、试剂盒和基因组学工具!

如需了解上述特色解决方案详情, 请浏览:

www.promega.com.cn/applications/gene-therapy-tools/

普洛麦格 (北京) 生物技术有限公司
Promega (Beijing) Biotech Co., Ltd

地址: 北京市东城区北三环东路 36 号环球贸易中心 B 座 907-909

电话: 010-58256268

网址: www.promega.com

技术支持电话: 400 810 8133

技术支持邮箱: chinatechserv@promega.com

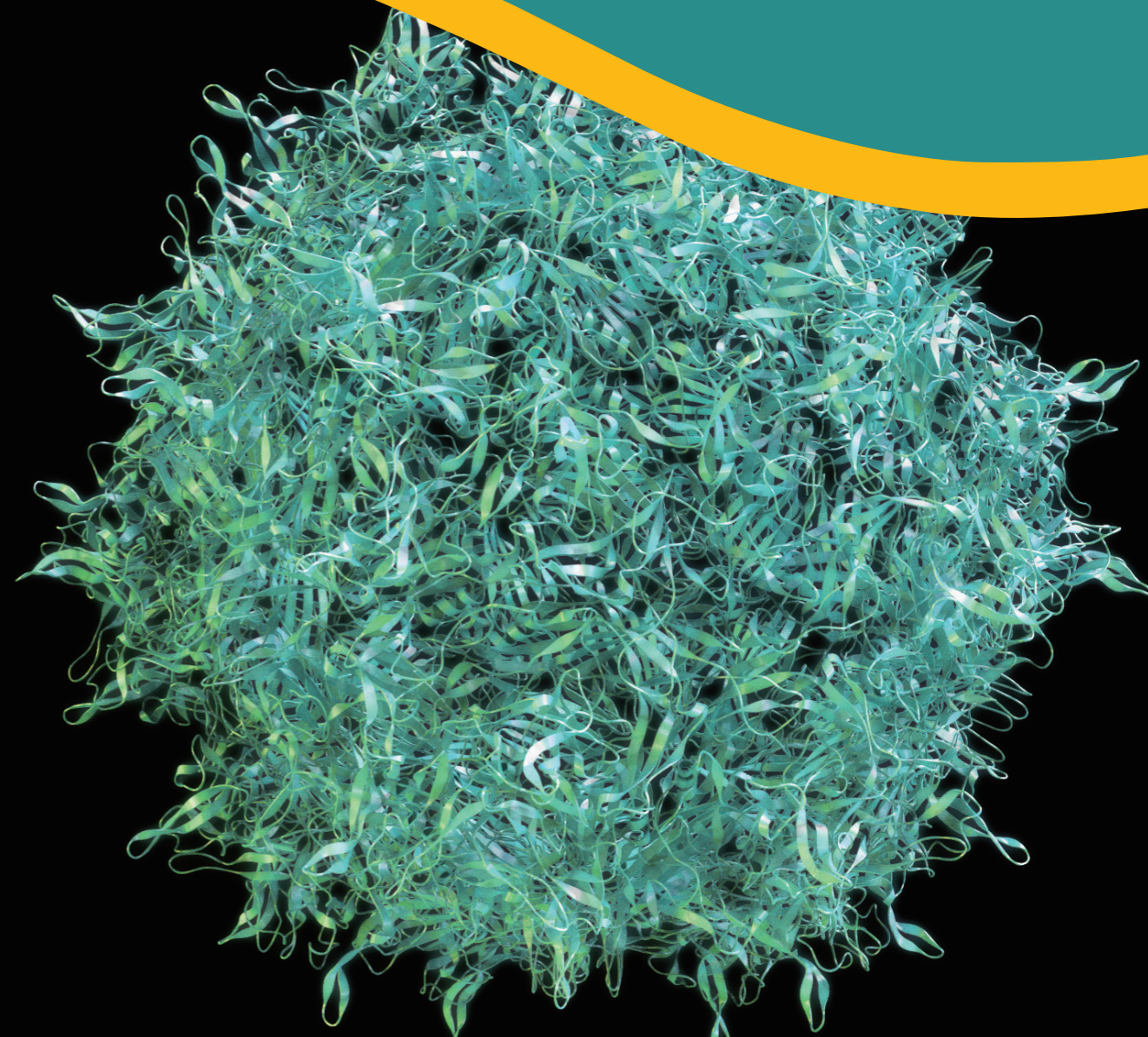
更新时间: 2025.02



欢迎关注 Promega 生命科学

腺相关病毒 (AAV) 研究工具

- 体外转导效率检测
- 体内生物分布检测
- 中和抗体检测
- AAV 衣壳滴度检测
- AAV 基因组滴度检测
- AAV 衣壳蛋白表征



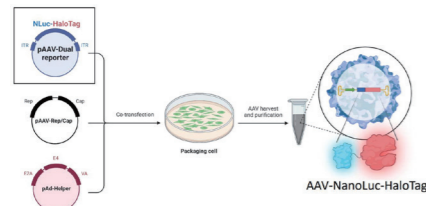
腺相关病毒 AAV

腺相关病毒 (AAV) 已经成为基因治疗中最有前景的病毒载体之一。重组 AAV 能有效地将遗传物质传递给分裂细胞和非分裂细胞。AAV 具有复制缺陷、无致病性、无细胞毒性的特点，可以在细胞和组织中保持生理水平的表达。研发基于 AAV 的基因治疗面临着诸多挑战，包括缺乏简单且标准化的分析方法、制造可扩展性方面的困难以及大多数人群中存在 AAV 中和抗体。为应对其中一些挑战，Promega 利用生物发光技术、蛋白质组学和基因组学工具，提供持续发展的新型 AAV 实验方案。

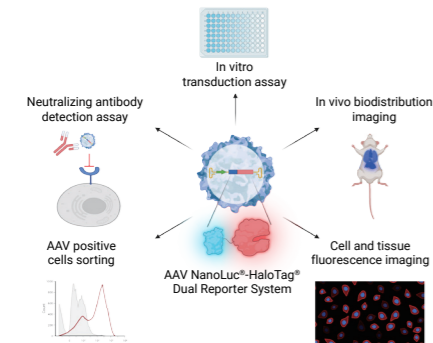
AAV 双报告基因系统

NanoLuc® - HaloTag® Dual Reporter AAV System

技术原理：采用重组 AAV 三质粒共转染法，在外源基因载体上构建 NanoLuc® 和 HaloTag® 基因，与 Rep/Cap 质粒和辅助质粒共转染进细胞，收集纯化后进行下游检测。

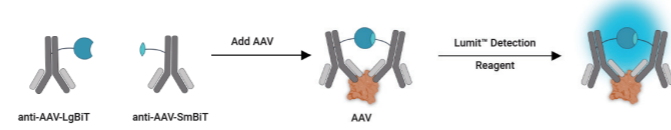


技术优势：一个双报告基因系统，满足多种应用需求。

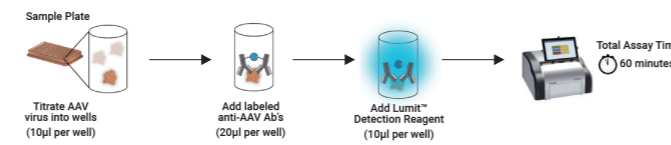


Lumit™ Immunoassays

与传统 ELISA 相比，Lumit™ AAV Capsid Immunoassay 可在更广泛的动态范围内对完整衣壳进行定量。该检测方法可用于纯化样品或处理中的粗裂解物。此简单的实验流程可在整个制造过程中实施，以优化转染及纯化和评估 AAV 产量。



AAV Capsid Lumit™ Immunoassay 实验流程

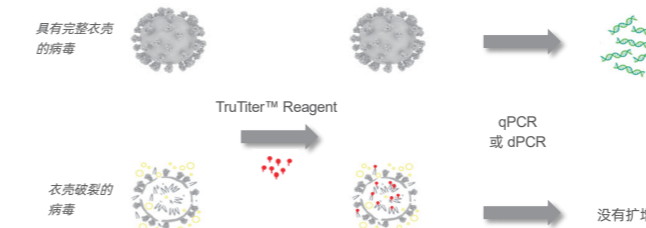


技术优势：

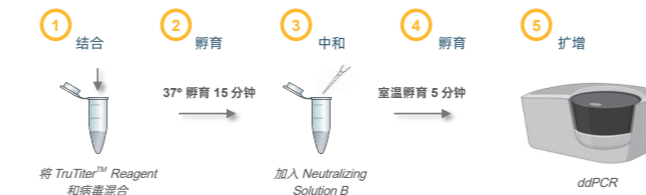
- 简单的“添加 - 读数”模式，无需洗涤步骤；
- 直接在细胞培养板中检测分析物；
- 无需在多孔板、磁珠或其他表面上进行固定；
- 灵敏的发光法检测，线性范围更广；
- 常规的发光仪即可进行检测；
- 兼容高通量。

TruTiter™ Reagent Kit

在使用 qPCR 或 dPCR 测定 AAV 基因组滴度前，通常使用 DNA 酶处理样品。DNA 酶处理时的消化不一致会导致 qPCR 或 dPCR 结果数据的改变。使用 TruTiter™ Reagent Kit，只有完整衣壳内的 DNA 会被扩增。这使得 AAV 病毒基因组的定量一致，并且不再需要 DNA 酶处理。



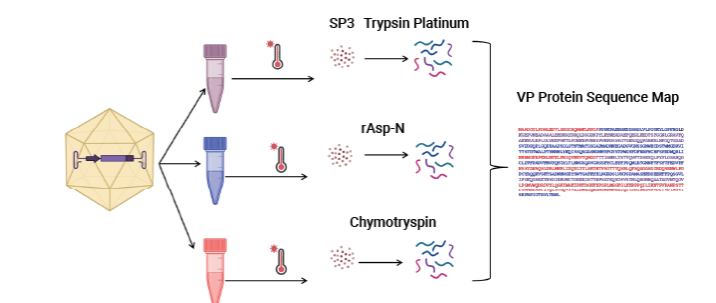
快速简单的检测实验流程



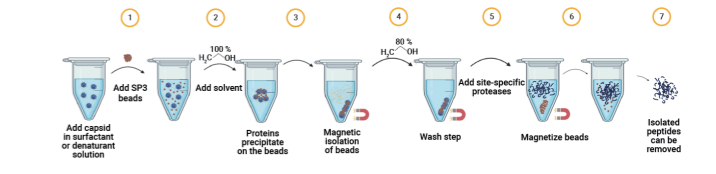
SP3 Sample Cleanup Kit

基于磁珠 (SP3) 的 AAV 衣壳蛋白样品新制备方法可以与我们的蛋白酶组合一起使用。这种多蛋白酶衣壳图谱分析方案可以几近完整地覆盖整段序列。

SP3 磁珠提供高效的污染清除，可以在非变性蛋白水解条件下使底物变性，并能浓缩稀释样品以进行 LC-MS/MS 分析。



使用 SP3 蛋白水解衣壳的实验流程



Promega 的技术可以支持 AAV 药物设计流程中的如下关键环节

1 血清型筛选

- AAV 载体设计
- 个性化治疗

关键产品： NanoLuc®-HaloTag® Dual Reporter AAV System

产品信息		
AAV2 [Nluc-HaloTag/CMV] Viral Particles		
AAV8 [Nluc-HaloTag/CMV] Viral Particles		
AAV9 [Nluc-HaloTag/CMV] Viral Particles		Please enquire
pNL.AAV[Nluc-HaloTag/CMV] Vector, 20ug		
pNL.AAV[Nluc/CMV] Vector, 20ug		

相关产品：

产品	规格	目录号
Nano-Glo® Live Cell Assay System	100 assays	N2011
Extracellular NanoLuc® Inhibitor		Please enquire
Janelia Fluor® Halo Tag® 646 Ligand	5 pack	HT1060

上述产品还有其他规格提供，请浏览 Promega 官网查询。

2 中和抗体检测

- 评估治疗效果
- 临床试验设计
- 疫苗研发

3 体内生物分布检测

- 载体设计，血清学筛选
- 药效学研究
- 安全性评估

关键产品： Nano-Glo® Fluorofurimazine In Vivo Substrate (FFz) 是一种水溶性检测试剂，其具有较高的底物生物利用率，可产生明亮、稳定的信号。

产品	规格	目录号
Nano-Glo® Fluorofurimazine In Vivo Substrate (FFz)	1 each	N4100
	5 each	N4110

如对上述产品感兴趣，请联系 Promega 授权经销商购买。

4 病毒颗粒滴度检测

- 质量控制中心不可少的环节
- 评估生产效率，优化生产工艺
- 精确给药剂量控制
- 疗效评估

关键产品： Lumit™ Immunoassays (AAV 2,6,8,9)

相关产品：

产品	规格	目录号
Lumit™ Immunoassay Labeling Kit		
Lumit™ Immunoassay	1 each	VB2500
Lumit™ Detection Reagent A	500 assays	VB2010
Lumit™ Detection Reagent B	100 assays	VB4050

上述产品还有其他规格提供，请浏览 Promega 官网查询。

5 病毒基因组滴度检测

- 生产效率和产品质量的关键参数
- 精确的剂量控制
- 疗效评估

关键产品： TruTiter™ Reagent Kit

产品	规格	目录号
TruTiter™ Reagent System	200 reactions	A8884
	200 reactions	A8885
TruTiter™ Plus Reagent Kit	100 rxs	
组分		
TruTiter™ Reagent-1mM		200ul
Neutralization Buffer B (100X)		200ul
Proteinase K		1ml

如对上述产品感兴趣，请联系 Promega。

6 病毒衣壳蛋白表征

- 结构功能分析
- 产品质量控制
- 鉴定血清型
- 改进基因治疗载体

关键产品： SP3 Sample Cleanup Kit 用于 LC-MS 分析 AAV 衣壳蛋白的肽图分析试剂：

试剂	主要用途
Trypsin Platinum	衣壳蛋白序列图谱分析
Arg-C Ultra	额外的衣壳蛋白覆盖
Chymotrypsin	额外的衣壳蛋白覆盖
rAsp-N	额外的衣壳蛋白覆盖
SP3 Sample Cleanup Kit	蛋白捕获和消化的重要样品制备工具
Rapid Trypsin/Lys-C	脱酰胺位点图谱分析的有效工具
PNGase F	对糖基化位点的图谱分析至关重要
AccuMAP™ 10X Low pH Reaction Buffer	最小化衣壳蛋白脱氨反应

如对上述产品感兴趣，请联系 Promega。