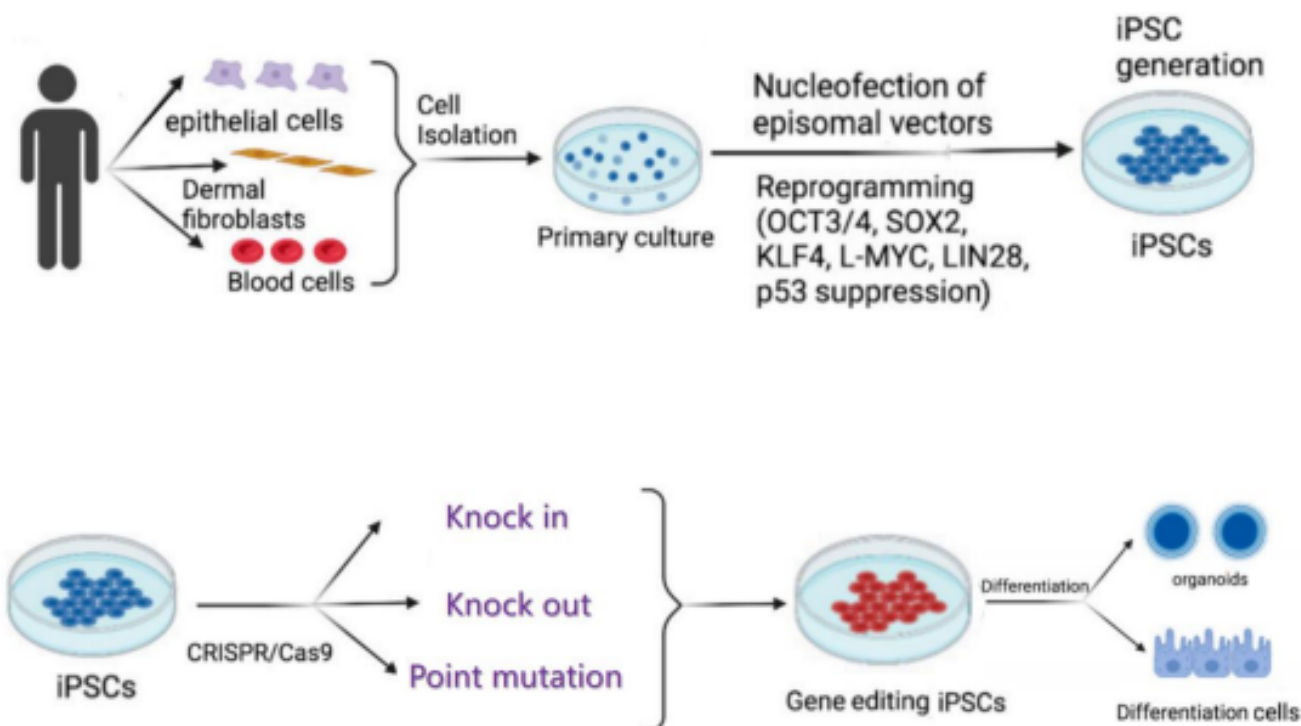


iPSC 体外疾病模型研究平台上线啦

南模生物 iPSC 疾病研究模型平台拥有多年培养干细胞的经验和干细胞基因编辑技术，已建立稳定的iPS诱导系统，可以提供高效的疾病研究模型。

诱导性多能干细胞（iPS）具有类似于胚胎干细胞的全能性，其能够分化成特定的细胞，组织或器官。诱导多能干细胞 iPS 技术具有巨大的潜在应用价值，可以用于干细胞治疗研究，构建疾病模型，发现新的治疗靶点或筛选新的药物。南模生物 iPSC 疾病研究模型平台拥有多年培养干细胞的经验和干细胞基因编辑技术，已建立稳定的iPS诱导系统，可以提供高效的疾病研究模型。



1. iPSC 体外疾病模型的优势

1. 体外诱导的 iPSC 细胞可无限扩增和定向分化，有利于替代较难获得的原代细胞系。
2. 患者体内诱导出来的 iPSC 细胞，分化形成的类器官，有利于大规模的进行药物筛选。
3. iPSC 细胞在体外更容易进行基因编辑，诱导分化细胞可以高效模拟疾病的治疗。

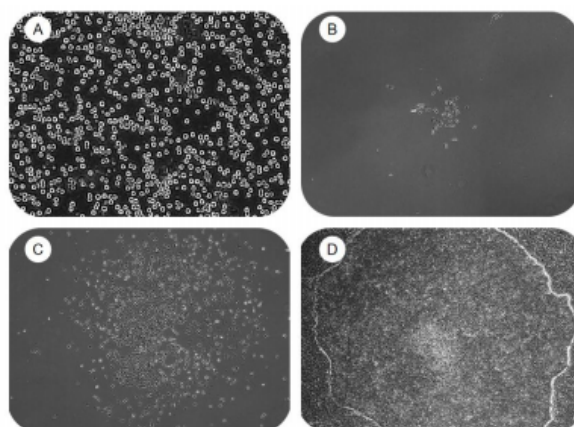
2. iPSC 体外疾病模型服务内容及交付周期

类型	项目	交付标准	QC	周期
CRISPR 基因编辑 细胞系	基因敲除(KO)	1单克隆纯合子	PCR、测序	8-12周
	基因敲入(KI)	细胞株		12-18周
	定点突变(PM)	2管(10*6/管)		12-18周
iPS细胞系	成纤维细胞/血 单核细胞IPS诱 导	2个单克隆iPS 细胞株 2管(10*6/管)	细胞形态、干性基 因免疫荧光、多能 性分析、核型分析	10-14周

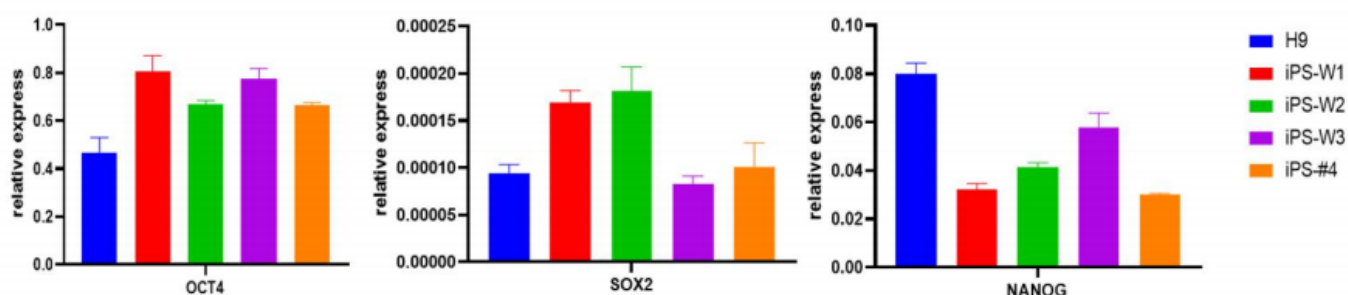
3. iPSC 体外疾病模型服务案例

3.1外周血单核细胞重编程为诱导多能干细胞 (iPS)

通过密度梯度离心，将外周血中的单个核细胞分离出来。单个核细胞经体外扩增后，电转重编程质粒 OCT3/4,SOX2,KLF4,L-MYC,LIN28。电转第七天可见细胞贴壁，12-18 天 iPS 克隆逐渐形成，qPCR 验证 iPS细胞相关基因均有表达。



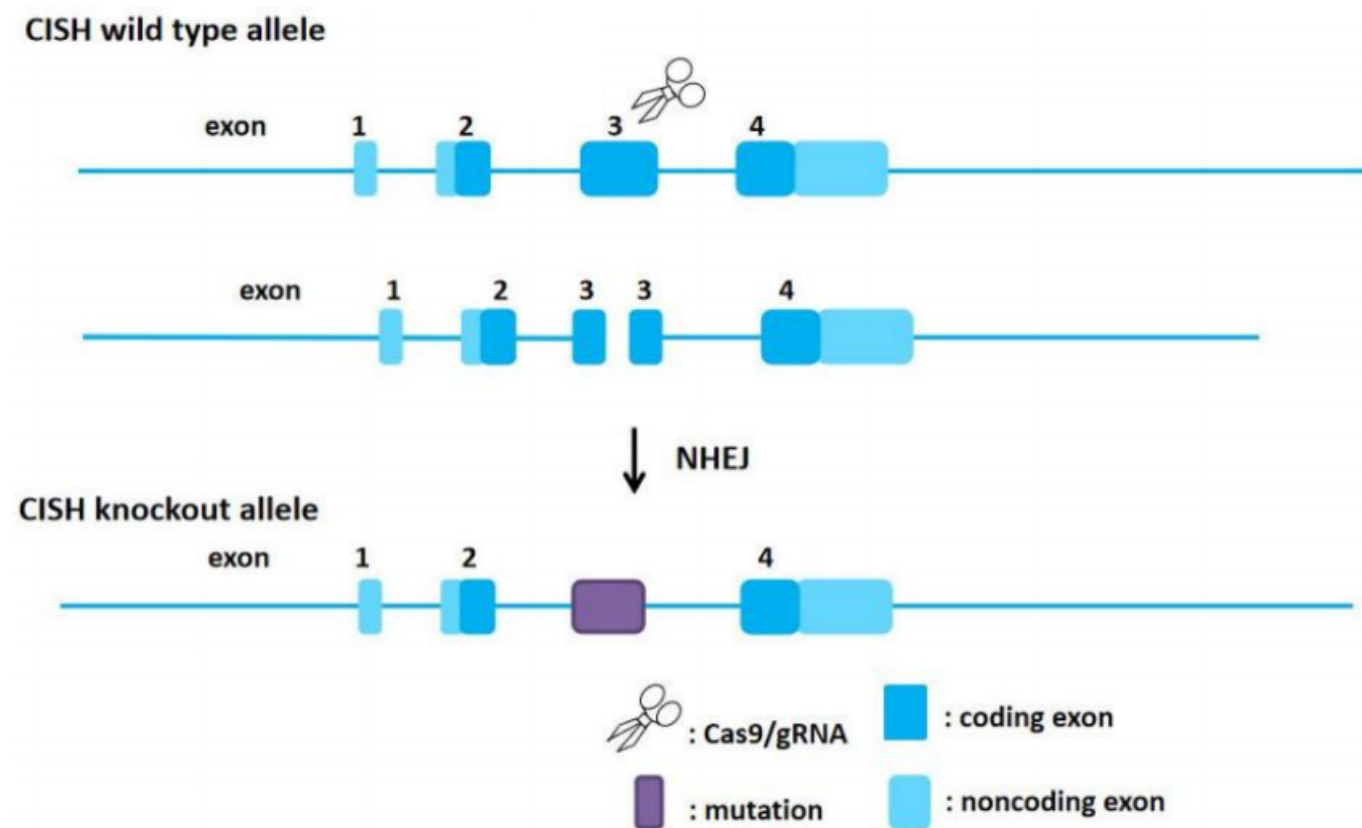
注:A图为红系祖细胞重编程打靶day0；B图为day7，细胞开始贴壁；C图为day12，iPS克隆开始出现；D图 图为day18，iPS克隆长成，边缘清晰，细胞致密。



qPCR 验证iPS细胞相关基因均有表达

3.2 iPS细胞和人胚胎干细胞的基因编辑

敲除示例：在基因CISH第三个外显子内选取sgRNA进行基因编辑，移码突变造成CISH基因的敲除。



hiPSC-CISH-KO编辑方案

clone 1

KO GCCCTTGCCTGCTGGGGCCTTCCTCGGAGGAGGTGGCAGAGGGTACCCAGCCCA
WT GCCCTTGCCTGCTGGGGCCTTCCTC—GAGGAGGTGGCAGAGGGTACCCAGCCCA

Allele 1: 1bp add in KO



KO GCCCTTGCCTGCTGGGGCCTTCCTC—GGAGGTGGCAGAGGGTACCCAGCCCA
WT GCCCTTGCCTGCTGGGGCCTTCCTCGAGGAGGTGGCAGAGGGTACCCAGCCCA

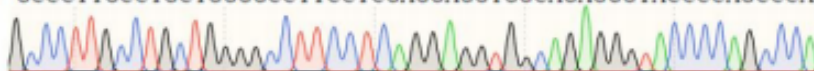
Allele 2: 2bp loss in KO



clone 2

KO GCCCTTGCCTGCTGGGGCCTTCCTC—AGGAGGTGGCAGAGGGTACCCAGCCCA
WT GCCCTTGCCTGCTGGGGCCTTCCTCGAGGAGGTGGCAGAGGGTACCCAGCCCA

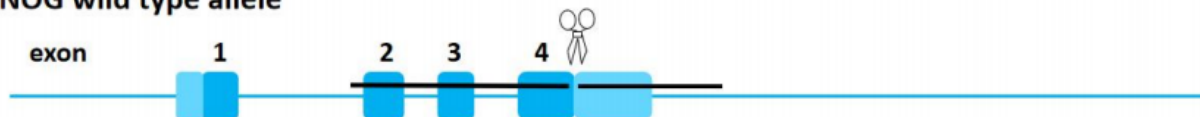
Allele 1/2: 1bp loss in KO



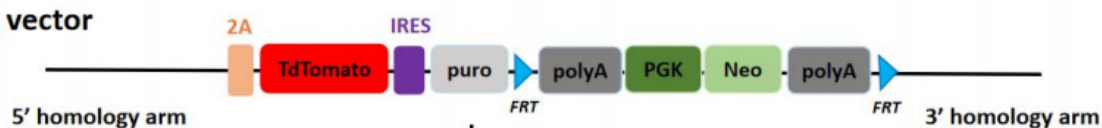
hiPSC-CISH-KO测序验证

敲入示例：在人iPS细胞 NANOG基因后插入TdTomato荧光蛋白。

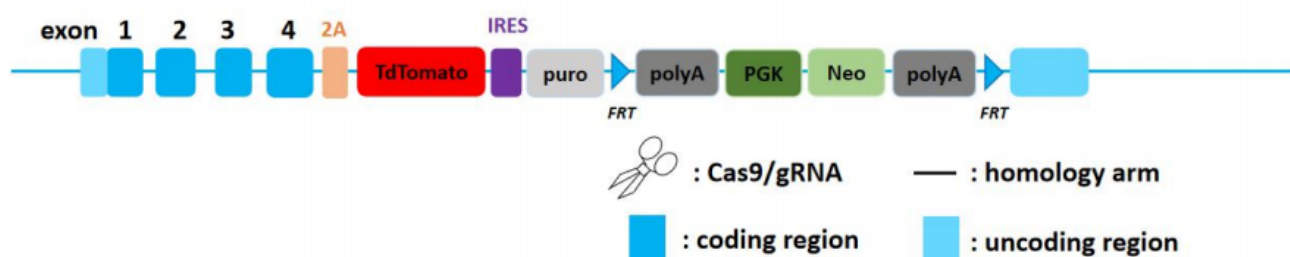
NANOG wild type allele



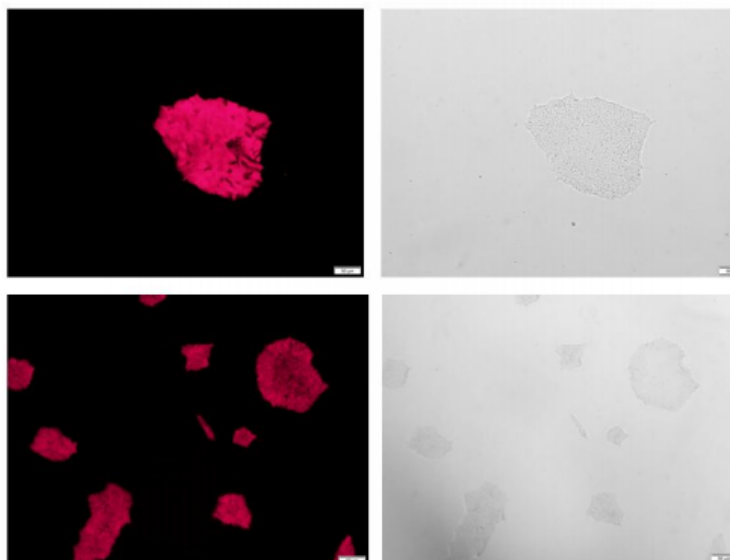
Targeting vector



NANOG knockin allele



iPS-NANOG-2A-tdTomato编辑方案



iPS-NANOG-2A-tdTomato荧光表达验证

业务咨询

·400-728-0660 (订购/技术热线)

·南模生物公众号-在线咨询