

Ataluren (PTC124)

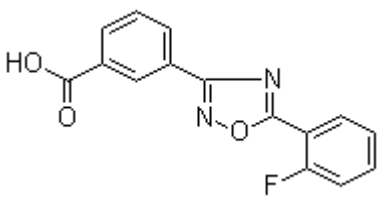
产品编号：MB3811

质量标准：>98%,BR

包装规格：10MG;50MG

产品形式：solid

基本信息

分子式	C15H9FN2O3	结 构 式	
分子量	284.24		
CAS No.	775304-57-9		
储存条件	-20℃，避光防潮密闭干燥		
溶解性 (25℃)	DMSO：57 mg/mL (200.53 mM) Water Insoluble Ethanol Insoluble		
注意事项	溶解性是在室温下测定的，如果温度过低，可能会影响其溶解性。		
其他说明	为了您的安全和健康，请穿实验服并戴一次性手套操作。		

简介：PTC124 (Ataluren)是可口服的 CFTR-G542X 无义等位基因抑制剂。**别名：**阿塔鲁伦;3-[5-(2-氟苯基)-1,2,4-恶二唑-3-基]苯甲酸;Ataluren; PTC-124; PTC 124;3-[5-(2-Fluorophenyl)-1,2,4-oxadiazol-3-yl]benzoic acid**物理性状及指标：**

外观：.....白色至类白色固体

溶解性：.....DMSO : 57 mg/mL (200.53 mM) ; Water Insoluble ; Ethanol Insoluble

含量：.....>98%

储存条件：-20℃，避光防潮密闭干燥**生物活性**

产品描述	Ataluren (PTC124)选择性诱导核糖体转录通读，但不影响正常的终止密码子，在 HEK293 细胞中 EC50 为 0.1 μM，可以治疗 nonsense mutations (如 CFTR 无义突变引起的 CF)造成的家族遗传性疾病。
特性	PTC124 具有口服生物有效性，和适当的安全毒性谱。
靶点	CFTR (nonsense mutant)

	(HEK293 cells)
体外研究	与 Gentamicin 只在较高浓度有活性相比, PTC124 是更有效的无义抑制剂, 与对照组相比, 通读刺激强 4-15 倍。PTC124(0.01-3 μ M)作用于 含 LUC-190 无义等位基因的 HEK293 细胞, 促进三个无义密码子的通读, 这种作用存在剂量依赖性, 在 UGA 通读最高, 然后是 UAG, 再然后是 UAA,但是不会抑制多种近端无义密码子。与 Gentamicin 相似, PTC124 在无义密码子后的嘧啶处(尤其是胞嘧啶,C) 活性最高。与稳定细胞系报告实验一致, PTC124 (17 μ M) 作用于 Duchenne 肌营养不良症 (DMD) 患者或表达肌萎缩蛋白无义等位基因的 mdx 小鼠, 显著促进肌萎缩蛋白产量。PTC124 选择性促进核糖体提前终止密码子而不是正常终止密码子的通读, 即使浓度显著高于达到最大活性所需值。
体内研究	因为肌萎缩蛋白产量的功能性恢复, PTC124 按口服, 腹腔注射, 或两者联合, 处理 2-8 周, 部分缓解 mdx 小鼠营养不良肌中的功能性力量不足, 结果作用于 趾长伸肌 (EDL), 对收缩性损伤起到局部保护作用, 且显著降低血清肌酸激酶值。[1] PTC124 按 ~60 mg/kg 剂量皮下或口服处理表达人类 CFTR-G542X 转基因的 Cfr-/-小鼠, 抑制 G542X 无义突变, 这种作用存在剂量依赖性, 导致人类 (h)CFTR 蛋白表达和功能的显著恢复, 而对无义介导的 mRNA 降解 (NMD)或 mRNA 稳定性的其他方面没有任何影响。PTC124 按 60 mg/kg 剂量处理 Cfr+/+ 小鼠, 观察到正常肠道跨上皮 cAMP 刺激的短路电流恢复 29%, 与 Gentamicin 相比具有的显著优势。

美仑相关产品推荐(更多相关靶点抑制剂请详询官网或客服)

MB3631	CFTRinh-172
MB3808	VX-661
MB3809	依伐卡托(IVACAFTOR)

用途及描述: 科研试剂, 广泛应用于分子生物学, 药理学等科研方面, 严禁用于人体。Ataluren (PTC124)选择性诱导核糖体通读, 不影响正常的终止密码子, 可以治疗 nonsense mutations (无义突变) (如 CFTR 无义突变引起的囊性纤维病(CF))造成的遗传性疾病。本品可用于相关领域的科研实验。

储液配置

体 质 浓度 积	1 mg	5 mg	10 mg
1 mM	3.5182 mL	17.5908 mL	35.1815 mL
5 mM	0.7036 mL	3.5182 mL	7.0363 mL
10 mM	0.3518 mL	1.7591 mL	3.5182 mL
50 mM	0.0704 mL	0.3518 mL	0.7036 mL

经典实验操作 (仅供参考)

动物实验：	Animal Models: Cftr ^{-/-} hCFTR-G542X 转基因小鼠 Formulation: 溶于 DMSO,然后在盐水中稀释 Dosages: ~60 mg/kg/day Administration: 皮下注射或口服处理
--------------	--

【注意】

- 我司产品为非无菌包装，若用于细胞培养，请提前做预处理，除去热原细菌，否则会导致染菌。
- 部分产品我司仅能提供部分信息，我司不保证所提供信息的权威性，以上数据仅供参考交流研究之用。

活性化合物操作注意事项

1 产品分装：您收到货物后最好不要自己进行分包，因为分包环境、包装材料等因素可能导致分包后的产品变质；如您有特殊包装要求，请在订购时候与我们客服代表阐明，当然价格会做适当调整。对于开盖后，长期未使用的，请务必重新密封好，建议 Parafilm 封口膜，并按照相应储存条件使用。如果放置时间过长，超过产品有效期，建议您重新购买，以免影响实验质量。

2 储备液制备：大部分试剂的溶液形式稳定性较差，请优先采用现用现配的方式。如需制备储存液，请选用合适溶剂，细胞培养类多选择 DMSO，储备液制备完成后请于零下 80 摄氏度储存，一般可以稳定存在 3-6 个月以上。在使用前，再对储备液进行稀释。避免储备液反复冻融。

3 细胞培养工作液制备：请根据个人需要正确计算浓度，稀释储备液或者直接用粉末配置工作液。由于大部分化合物是脂溶性的，所以使用水性溶剂（如 PBS）稀释时，可能会析出沉淀，可通过超声使固体重新溶解，不会对实验产生影响。如用 DMSO 作为溶剂，请确保 DMSO 最终使用浓度 <0.3%，以避免细胞毒性。

灭菌方式，我们建议通过 0.22UM 微膜过滤方式除菌，请勿采用紫外，射线或者高温灭菌方式，否则会影响化合物活性，甚至破坏其结构导致彻底失活。

4 体内动物实验应用：由于很多化合物是脂溶性的，动物实验工作液配制失活，可能会需要加入一些药用辅料作为助溶剂，如吐温，CMC-NA，甘油等，具体需要客户查阅相关文献决定。如使用 DMSO，请确保 DMSO 的终浓度 <5%，以避免毒性作用。给药剂量设计时候，可以参考下表
动物体表面积等效剂量换算表

物种	体重(KG)	体表面积(M ²)	Km 系数
狒狒	12	0.6	20
狗	10	0.5	20
猴	3	0.24	12
兔	1.8	0.15	12
豚鼠	0.4	0.05	8
大鼠	0.15	0.025	6

仓鼠	0.08	0.02	5
小鼠	0.02	0.007	3

动物 A(mg/kg)=动物 B(mg/kg) X 动物 B 的 Km 系数/动物 A 的 Km 系数

5 关于产品到货处理及验收

您收到产品后，请及时查验产品的包装完整性，并对数量进行确认。对于很多微量的产品，数量低于 500MG 的，我们出厂前都是保证正确数量包装的。由于产品包装可能在运输过程中倒置，从而导致产品附着在管壁或者盖子上，这时候请不要先打开盖子，需正位放置轻轻拍打，使产品沉降到管底。对于液体产品，可以在 200 转左右稍作离心，管底收集液体，从而避免损失。

产品标签标示重量会有一定误差，在下面范围内均属于我司正常范围，望周知

标示重量范围	误差范围
1-20MG	0.1MG
50-500MG	1MG
>1G	3-5MG

为什么会看起来包装瓶是空的，如果您购买的产品的量非常小，同时有些产品在冻干的过程中粘附在管壁上形成薄薄的一层，可能观察不到产品的存在。您可以加入指定溶剂（参照操作手册）并涡旋或超声震荡使之完全溶解。

对于蜡状或油状的的产品很难取出称量它们的质量，我们建议您用合适的溶剂直接溶解该化合物；对于具有吸湿性的化合物，暴露在空气中会吸收水分，呈现液滴状，这种产品需要放置在干燥器中保存。