

Zalecana ostrożność przy stosowaniu technologii edycji genów CRISPR

Niedawna seria badań nad metodą edycji genów CRISPR wzbudziła obawy co do przydatności tej technologii w leczeniu chorób genetycznych, takich jak choroba Huntingtona



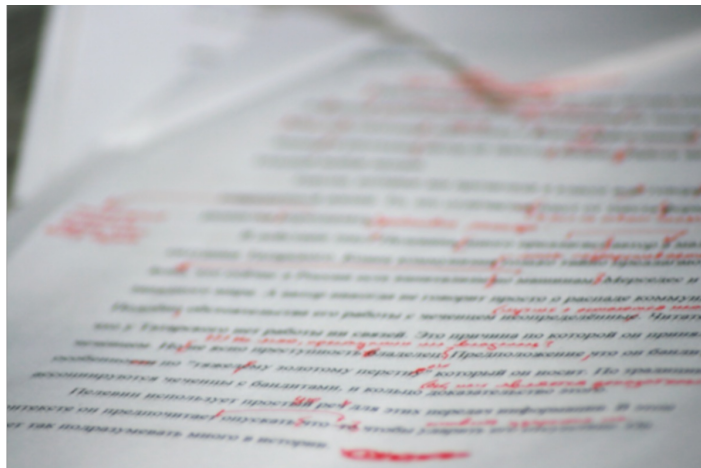
Napisany przez [Dr Rachel Harding](#) sierpień 13, 2020

Zredagowany przez [Dr Leora Fox](#) | Przetłumaczony przez [Arkadiusz Szatkowski](#)
Po raz pierwszy opublikowany sierpień 12, 2020

Narzędzie do edycji genów, znane jako CRISPR, było przedstawiane jako przełomowa technologia dla naukowców i potencjalna strategia leczenia wielu chorób genetycznych, w tym choroby Huntingtona. Jednak seria ostatnich badań sugeruje, że CRISPR jest mniej precyzyjny niż wcześniej sądzono, co prowadzi do niezamierzonych zmian w genomie. Trzy niezależne badania - z których każde miało na celu edycję pojedynczego genu - wykazały, że inne części DNA również zostały nieoczekiwanie zmienione.

Badania te są prezentowane w niezakończonym formacie online i nadal przechodzą proces naukowego recenzowania przed formalną publikacją. Oznacza to, że wciąż mogą zawierać nie zauważone jeszcze błędy. Ponieważ jednak wszystkie te niezależne i równoległe badania potwierdzają odkrycie, że technologia CRISPR może mieć skutki odbiegające od celu, wyniki te przyciągnęły już uwagę mediów, również naukowych. Chociaż CRISPR nadal jest obiecującym narzędziem badawczym, wydaje się, że nie jest jeszcze gotowy do użycia jako lek.

CRISPR można wykorzystać do wprowadzenia trwałych zmian w naszym DNA



Technologia CRISPR umożliwia naukowcom wprowadzanie zmian do naszych genomów, więc wielu naukowców jest podekscytowanych próbą wykorzystania tej technologii do leczenia chorób genetycznych, takich jak choroba Huntingtona

Foto: [Quinn Dombrowski](#)

System CRISPR został po raz pierwszy odkryty jako rodzaj układu odpornościowego używanego przez bakterie do obrony przed wirusami i innymi najeźdźcami poprzez siekanie obcego materiału genetycznego. Mechanizm CRISPR składa się z dwóch elementów: specjalnego fragmentu wiadomości genetycznej zwanego przewodnim RNA, który znajduje i wskazuje na DNA najeźdźcy, oraz enzym, który może przeciąć DNA by je zniszczyć. Zapoznaj się z [artykułem HDBuzz](#), aby uzyskać szczegółowe informacje na temat działania CRISPR i wyzwań stojących przed zgłębiającymi go badaczami.

Naukowcy mogą manipulować systemem, zmieniając przewodnie RNA na sekwencję docelową, a zatem mogą używać systemu CRISPR do wprowadzania zmian w precyzyjnych częściach genomu. Te zmiany są trwałymi zmianami w genomie i będą przekazywane z pokolenia na pokolenie. Od czasu jego odkrycia pod koniec 2000 roku naukowcy wymyślali różne zastosowania CRISPR. Na przykład, czy można byłoby wyedytować ekspansję genu HD w zarodkach? Pomysły te nie są pozbawione kontrowersji, biorąc pod uwagę dylematy etyczne związane z manipulacją genetyczną ludzi lub innych gatunków. CRISPR trafił na pierwsze strony gazet w 2018 r., kiedy eksperymenty zbuntowanego naukowca He Jiankui na Południowym Uniwersytecie Nauki i Technologii w Chinach zaowocowały narodzinami bliźniaczek, których genomy zostały zmodyfikowane.

System niezbyt doskonały

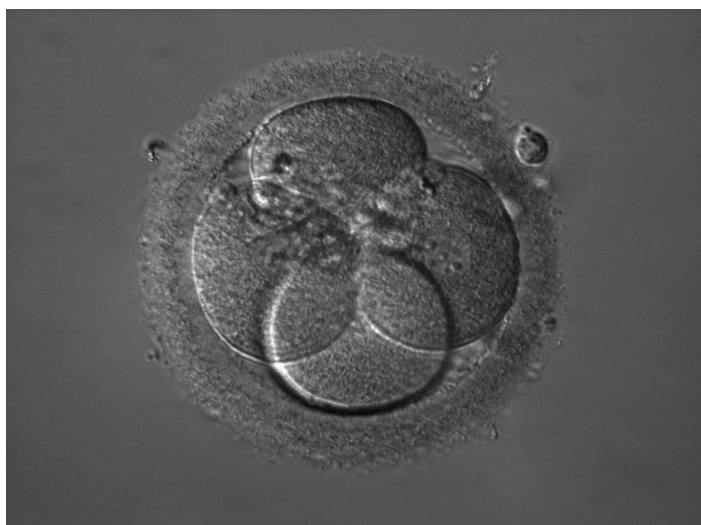
„Edycja genu metodą CRISPR może prowadzić do bardzo dużych i niezamierzonych zmian w innych częściach genomu ”

Trzy ostatnie badania zostały przeprowadzone przez naukowców z Francis Crick Institute w Londynie, Columbia University w Nowym Jorku oraz Oregon Health & Science University w Portland. Każdy zespół wykorzystał CRISPR do wprowadzenia zmian w ludzkich embrionach przekazanych do badań. Te trzy eksperymenty dotyczyły genów zaangażowanych w

rozwój płodu, ślepotę i problemy z sercem. Wszystkie badania wykazały, że edycja genu metodą CRISPR może prowadzić do bardzo dużych i niezamierzonych zmian w innych częściach genomu, w tym usuwania i przestawiania fragmentów w regionach bliskich docelowego genu. To źle, ponieważ nasz kod DNA to bardzo precyzyjny zestaw instrukcji, które można traktować jak przepis na gotowanie. Jeśli przestawisz kroki w przepisie lub pobbędzisz się niektórych składników, rezultat może nie być najlepszy!

Niezamierzone efekty wynikają z problemów z naprawą DNA, chociaż w badaniach nie ma zgody co do tego, jak może się to dziać. Wszyscy naukowcy zgadzają się jednak co do tego, że powinno to dać do myślenia każdemu rozważającemu użycie CRISPR do edycji genomu, ponieważ technologia nie jest tak dopracowana, jak wcześniej sądzono.

Jaka przyszłość czeka CRISPR i HD?



Zmiany wprowadzone w DNA przez CRISPR są trwałe i mogą być przekazywane z pokolenia na pokolenie

Foto: [ZEISS Microscopy](#)

Trwały charakter terapii chorób genetycznych (takich jak HD) opartych na CRISPR, jest zarówno atrakcyjny, jak i onieśmiałający. Teoretycznie CRISPR można wykorzystać do nieodwracalnego wycięcia niektórych powtórzeń CAG w rozszerzonym genie huntingtyny w zarodku. Osoba, która wyrosłaby z takiego embrionu nie miałaby HD, podobnie jak jej dzieci. Trwały charakter zmian dokonywanych za pomocą technologii CRISPR oznacza, że niezamierzone konsekwencje wpłynęłyby nie tylko na jednostkę, byłyby również przekazywane z pokolenia na pokolenie. Naukowcom nie zależy na wdrażaniu technologii do tego typu terapii genowych, dopóki nie uzyskają absolutnej pewności, że jest ona bezpieczna i działa zgodnie z planem.

Dobra wiadomość jest taka, że te ostatnie odkrycia uświadomiły naukowcom ograniczenia technologii CRISPR. W żadnym wypadku nie powstrzyma to naukowców od wielkich marzeń o tym, jak CRISPR może być użyteczny w przyszłości, ale społeczność będzie postępować

ostrożniej. Naukowcy zastanowią się teraz, jak ulepszyć technologię, aby uniknąć tego typu problemów, i miejmy nadzieję, że w przyszłości zastosują CRISPR jako bezpieczną terapię różnych chorób genetycznych.

Autor i redaktor nie zgłosili konfliktu interesów. [Aby uzyskać więcej informacji na temat naszej polityki informacyjnej zobacz FAQ...](#)

SŁOWNIK

CRISPR System precyzyjnej modyfikacji DNA

RNA substancja chemiczna, podobna do DNA, tworzy cząsteczkę 'wiadomości', wykorzystywana przez komórkę podczas produkcji białek jako kopia robocza genu.

© HDBuzz 2011-2025. Treści HDBuzz można rozpowszechniać na warunkach Ogólnej Licencji Creative Commons: Uznanie autorstwa - Na tych samych warunkach, 3.0 .

HDBuzz nie jest źródłem porad medycznych. Aby dowiedzieć się więcej zobacz hdbuzz.net

Wygenerowano maj 17, 2025 — Pobrano z <https://pl.hdbuzz.net/289>