

CRISPR-Cas9 – Framtidens behandling mot genetiska sjukdomar?

Adrian Silberman

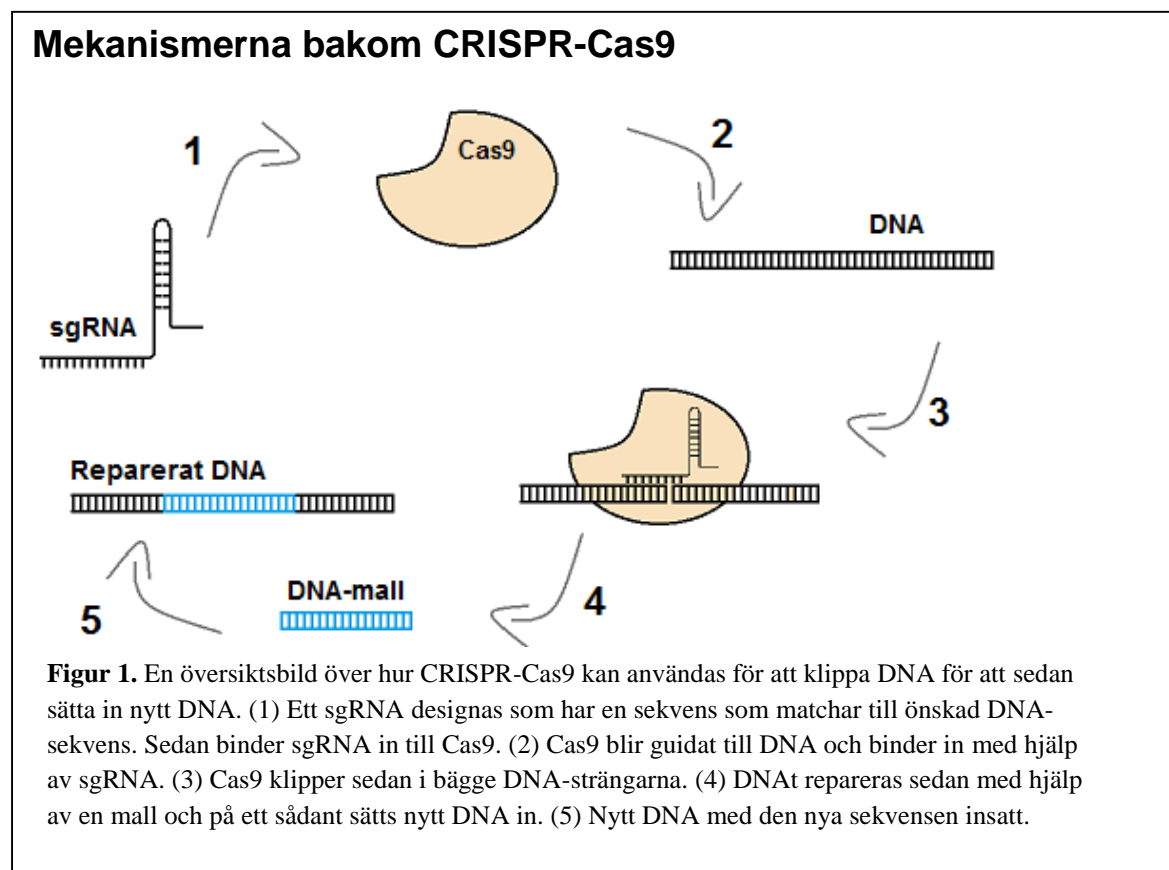
Populärvetenskaplig sammanfattning av Självständigt arbete i biologi 2015

Institutionen för biologisk grundutbildning, Uppsala universitet

De senaste åren har forskare hittat och studerat ett nytt verktyg som i framtiden skulle kunna råda bot på genetiska sjukdomar som sicklecellsanemi och cystisk fibros. Genetiska sjukdomar orsakas av att arvsanlagen (generna) blivit skadade eller på annat sätt förändrats. Genom att klippa bort skadat DNA som orsakar sjukdomen, för att sedan sätta in nytt "korrekt" DNA skulle genetiskt sjuka människor kunna bli friska. Det är därför som upptäckten av CRISPR-Cas9 är intressant, då den fungerar som en sax som kan klippa DNA på utvalda ställen. Det går att guida denna sax till önskat ställe genom att ändra i en guidande sekvens så att den matchar DNAt som ska klyvas.

En målsökande genetisk sax

DNA är koden för allt liv här på jorden och är mallen för hur vi ser ut och fungerar. Genom att göra ändringar i DNA-sekvenser kan man därför förändra koden och nya egenskaper kan fås. De senaste åren har forskare hittat och studerat ett nytt och intressant verktyg som kan ändra i DNA. Det nya verktyget heter CRISPR-Cas9 och är ursprungligen en del av bakteriens immunförsvar, som skyddar den mot bland annat virus. CRISPR-Cas9 fungerar som en sax som kan bli guidat till att klippa DNA på specifika ställen. Detta görs genom att forskare designar en komplementär sekvens (sgRNA) som då matchar med DNA-sekvenser de vill klippa i. Detta sgRNA är enkelt att ändra och kan därmed bli guidat till andra ställen i DNAt (Figur 1). Detta ger forskare ett helt nytt och unikt sätt att modifiera gener samt möjlighet att studera okända genes egenskaper.



Hur kan detta användas inom sjukvården?

Då det går att klippa i DNA går det även att byta ut DNA-fragment. Detta utbyte av genetiskt material är intressant inom genterapi. Genterapi sägs vara framtidens sjukvård och går ut på att bota genetiska sjukdomar. Teorin bakom det är att klippa ut DNA som kodar för sjukdomen och sedan ersätta det med nytt DNA. Genom att göra detta skulle det vara möjligt att bota bland annat sicklecellsanemi som är en av världens vanligaste genetiska sjukdom som cirka 300 000 barn föds med årligen, mestadels afrikaner. Symptomen är många och kan vara varierande, men blodbrist samt en extra utsatthet för infektioner är två av dessa. Cystisk fibros är en annan genetisk sjukdom som ger upphov till bildandet av segt slem som kan resultera i andningsbesvär, samt att det kan försvåra upptagningen av näringsämnen då slemmet täpper igen bukspottkörtelns gångar.

Forskare har dock sett att det kan finnas hinder med att använda CRISPR-Cas9. Det har nämligen visat sig att CRISPR-Cas9 har en benägenhet att klippa på oönskade ställen i DNA. Detta skulle kunna få förödande effekter om det hände i människor och det är även därför som studier genomförs för att eliminera risken för dessa oönskade effekter. CRISPR-Cas9 upptäcktes för bara fyra år sedan och forskarvärlden verkar vara enig om att det är alldeles för tidigt för att tekniken skulle appliceras på människor. Dock gjorde ett forskarlag i Kina experiment på mänskliga embryon som fick stor uppståndelse och gav upphov till en mängd debatter och etiska diskussioner. Studien gav inte resultaten de ville se, då oönskade effekter hade uppkommit. Forskarna sa även att vi behöver mer forskning på sidoeffekterna innan en eventuell applicering av denna metod kan ske på människor. ”International Summit on Human Gene Editing” var en av dessa debatter där forskare runt hela världen samlades för att diskutera vad som är etiskt försvarbart när det kommer till genmanipulering i mänskliga celler. De kom slutligen överens om att tillsammans bearbeta forskning om genmanipulering i mänskliga celler för att kunna få en bättre förståelse över forskningsfältet. Rapporten kommer sedan att publiceras i slutet av 2016.

Mer information

Silberman. A. Självständigt arbete i biologi 2015. Hur kan CRISPR-Cas9 användas inom genterapi?