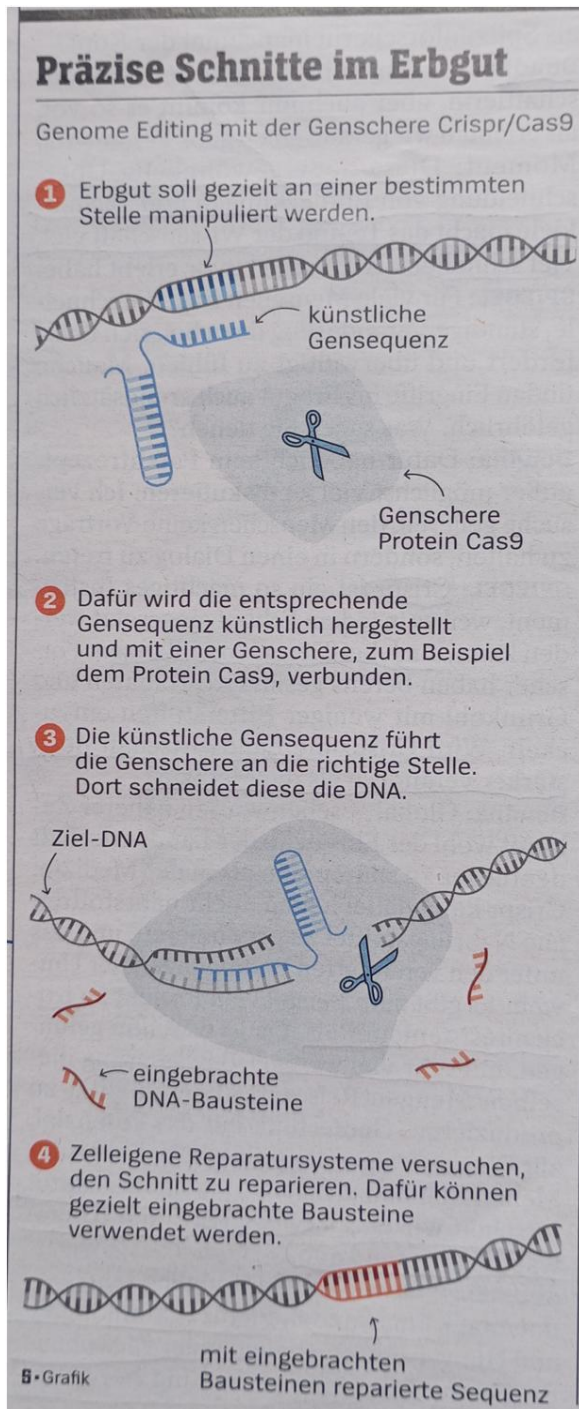


A gyógyítás jövője: folyamatos gyógyszeresedés helyett egyszeri génterápia

(A génszerkesztés a súlyos betegségek gyógyításának szolgálatában)

(A Spiegel interjúja Jennifer Doudnával – Nr. 51, 2023)



2012-ben egy olyan felfedezés történt, amely a génmódosítást technikailag szinte pofonegyszerűvé és az előző gyakorlathoz képest összehasonlíthatatlanul pontosabbá tette. Ezt a kívülállóknak teljességgel érthetetlen *CRISPR/Cas9* szó-rövidítésű módszernek nevezik, mely Jennifer Doudna és Emmanuelle Charpentier amerikai kutatók nevéhez fűződik.¹ Ma már a géneket úgy szabdalják és ragasztgatják össze, mint ahogy egy filmrendező összevágja a felvételekből a kész filmet, vagy ahogy egy szerkesztő a word-ben átjavítja a kéziratot. Az új eljárást ennek megfelelően génszerkesztésnek nevezik, s a szakma a teremtés mámorában él.²

A módszer lehetővé tenné, hogy pl. az emberi embrió génállományát a szülők kívánsága szerint módosítsák, annak megfelelően, amilyen tulajdonságokkal a szülők szeretnék felruházni megszületendő gyermeküket. De – hál’istennek – tudományos közmegegyezés van, hogy a „csírvonalba” nem szabad belenyúlni, azaz olyan genetikai változtatásokat nem szabad végrehajtani, melyek öröklődnének. – Mert milyen is lenne az ideális ember? Aszociális, mint a legtöbb zseni? Vagy a férfiak kékszemű, szőkehajú

¹ Doudna és Charpentier 2020-ban kémiai Nobel-díjat kaptak.

² Lásd erről részletesen: Kiss Károly: Humán GMO – A genetikailag módosított ember.

<http://kisskaroly.x3.hu/publicisztika/human-gmo.pdf> (A génszerkesztés azért valójában egy kicsit bonyolultabb, tekintve, hogy van, amikor egy-egy tulajdonságot nem egy, hanem több, esetleg több tucat gén kódol.)

izomkolosszusok? A változatosság kiszűrése fajunk degenerálódásához vezetne...

Ehelyett Doudna és a szakterület vezető tudósai arra koncentrálnak, hogy a módszert a tömeges betegségek, mint amilyen az Alzheimer és a rák gyógyítására használják fel.

Alig több, mint tíz évvel a Crispr megalkotása után Angliában és Amerikában már génterápiaként alkalmazzák két súlyos vérbetegség, *a sarlósejtes vérszegénység és a béta-thalasszémi*a kezelésére. A Crispr-technológiával kijavítják a genetikai hibát, mely e betegségeket okozza. A betegtől őssejteket vesznek, a génterápiát azokon végzik el laboratóriumban, majd a módosított sejteket visszaültetik. A költsége horribilis – egy beteg esetében egy millió dollár. Ezek ritka, bár súlyos betegségek.



Jennifer Doudna

A sarlósejtes vérszegénységet csupán egy egy-generációs mutáció okozza, ezért könnyű a Crispr alkalmazása. Távolilag a kezelés injekcióval fog megtörténni; a szükséges génszerkesztést a szervezetbe bevitt anyagok fogják végrehajtani. Még később pedig remélhetőleg egy olyan beavatkozás fog történni, mely eleve megakadályozza a kóros genetikai elváltozásokat. A cél az, hogy a tömegeket érintő súlyos megbetegedéseket, mint az Alzheimer és a rák ezzel tudják kezelni.

Hosszú távon ez a módszer lehetővé teszi majd, hogy a gyógyítás ne folyamatos orvosság-szedéssel történjék, hanem egyszeri génterápiás beavatkozással.



Charpentier és Doudna

A génmódosítás már eddig is igen fontos szerepet játszik a növénytermesztésben és az állattenyésztésben. A Crispr módszerrel sokkal célravezetőbben és hatékonyabban hajthatók végre a módosítások. Ez – az ágazat általános hatékonyságának javításán túl, az élelmezési válságok kiküszöbölésén túl – lehetővé teszi a mezőgazdaságnak és az állattenyésztésnek a környezet- és klímavédelmi célok szolgálatába állítását.

Kiegészítés: Az egyes számú cukorbetegség kezelése génszerkesztéssel:³

Az egyes számú cukorbetegséget az okozza, hogy a szervezet immunsejtjei megtámadják és elpusztítják az inzulint előállító béta-sejteket (autoimmun betegség). A bostoni Vertex

³ Az Economist 2024. febr. 24. sz. alapján: Cell engineering. Beta testing.

Pharmaceuticals béta sejteket növeszt őssejtekből, hogy azok transzplantációjával pótolják a hiányzókat. De hogy lehet megakadályozni, hogy az immunrendszer azokat ne támadja meg?

Egy szervezet komponenseinek az önazonosságát az ún. HLA-fehérjék igazolják. Az immunrendszer ennek alapján dönti el, hogy mi a saját és mi az idegen. Az átültetendő béta sejtek „előállításakor” génszerkesztéssel megakadályozzák, hogy azok az önazonosságot igazoló HLA-fehérjéket termeljenek és így azokat az immunrendszer – legalább is emiatt – nem fogja megtámadni. Igen ám, de ekkor meg működésbe lépnek a makrofágok, melyek az idegen anyagot elpusztítják, kilövik a szervezetből. (Ha van rajta sapka az a baj, ha nincs az a baj esete áll fenn.)

A HLA-fehérjék termelésének megakadályozását Sonja Schrepfer (University of California, San Francisco) és a Seattle-ben működő Sana Biotechnology cég fundálta ki. De arra is van válaszuk, ha működésbe lépnek az immunrendszer gyilkoló sejtjei: egy CD 47 jelölésű fehérje túltermelésével riasztják el őket....

Egy újabb megoldás pedig a Müncheneri Műszaki Egyetemről jön: Hasna Maachi-tól és Matthias Hebroktól. Ők egy olyan sejtet alkottak meg (supressor cell), amely megpróbálja lecsillapítani az immunrendszer gyilkoló sejtjeit... - Hát mit mondjak? Nem könnyű elbánni az immunrendszerünkkel, korrigálni a hibáit, ha az rosszul végzi a dolgát.

Göd, 2024 Húsvét (hétfőjén ezzel szórakoztattam magam, mivel a locsolkodás már kiment a divatból)

Kiss Károly