



МНИАП

Технология генного редактирования CRISPR

Наиболее значимые результаты 2019
года

2020



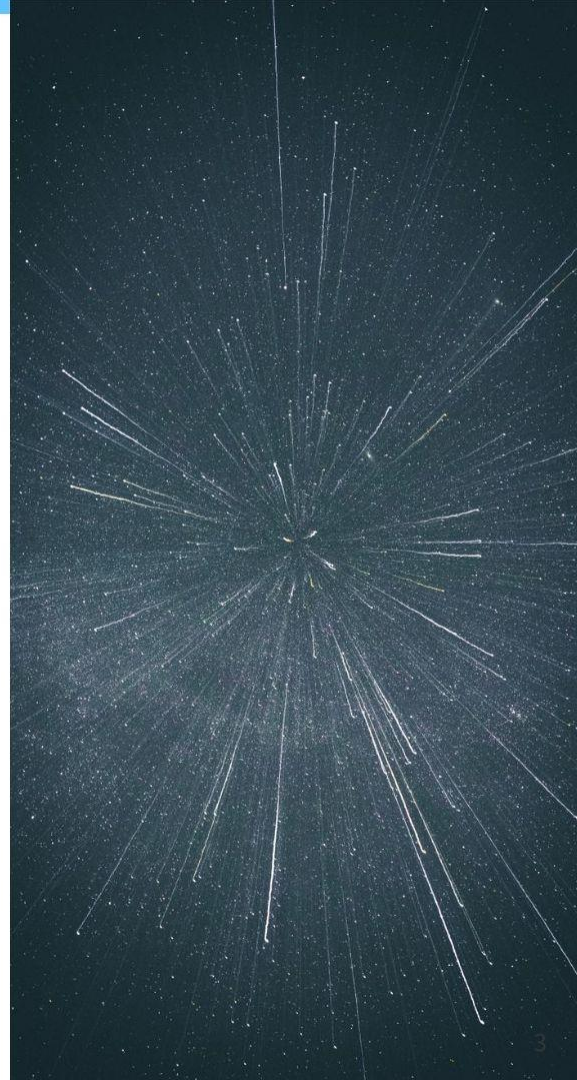
Редактирование генов домашних животных с целью обеспечения устойчивости к вирусным заболеваниям

- Вирус африканской чумы свиней нанес огромный ущерб сельскому хозяйству Китая. Сейчас в этой стране ведутся активные генноинженерные разработки с целью создания пород устойчивых к вирусу;
- Редактирование генома домашней птицы с целью повышения устойчивости к птичьему гриппу - второе магистральное направление исследований;
- Важно учитывать, что существует риск того, что птичий грипп, в случае неблагоприятных мутаций вируса, может привести к пандемии. Поэтому разработки методов защиты от него - очень актуальный и востребованный проект.



Исследование возможностей CRISPR и работы естественных механизмов восстановления ДНК в условиях микрогравитации

- Один из главных рисков пилотируемых длительных и дальних космических полетов - повреждение ДНК под действием радиации;
- В проведенном на МКС эксперименте в генетическую последовательность клеток дрожжей с помощью CRISPR - технологии были внесены запланированные повреждения, после чего изучались процессы самовосстановления ДНК в условиях микрогравитации;
- Также изучается возможность воздействия на генную экспрессию с целью лучшей адаптации человека к условиям дальних космических полетов.



Редактирование генома человека с целью получения устойчивости к вирусу иммунодефицита

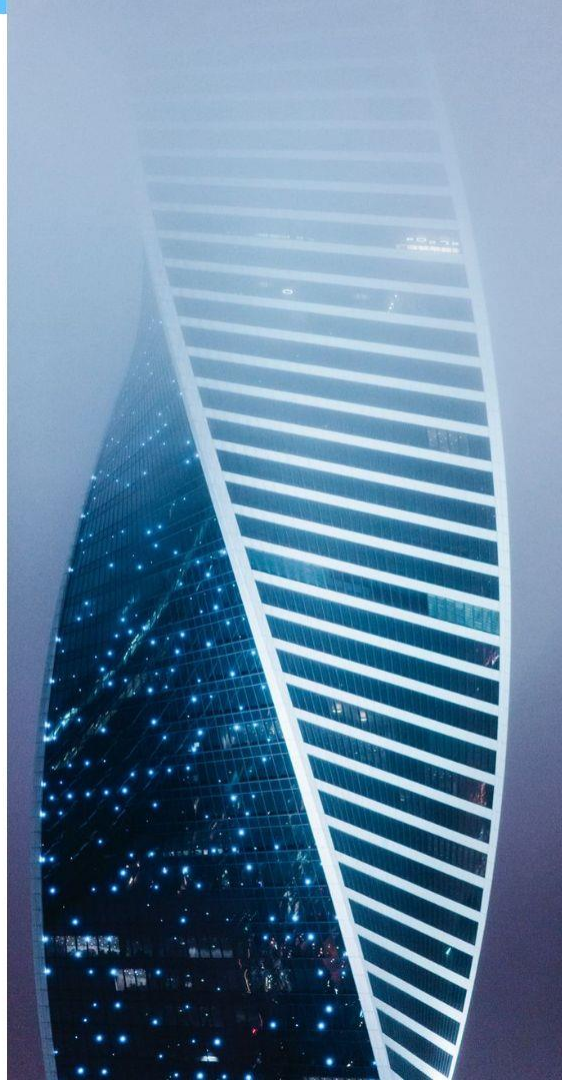
- Обнаружена и исследована генетическая мутация, делающая человека малоуязвимым к заболеванию ВИЧ;
- Китайскими учеными активно ведутся различные исследования и эксперименты по практическому внедрению результатов этих исследований;
- Наиболее известный пример - рождение в Китае генетически модифицированных девочек-близнецов, потенциально устойчивых к ВИЧ.

Китайский суд признал действия ученого, осуществившего этот эксперимент, преступлением и приговорил его к штрафу и тюремному заключению



В России ведутся научные разработки, направленные на медицинское использование CRISPR - технологии

- Цель ученых - дать возможность зачать здорового ребенка родителям, страдающим наследственной глухотой.

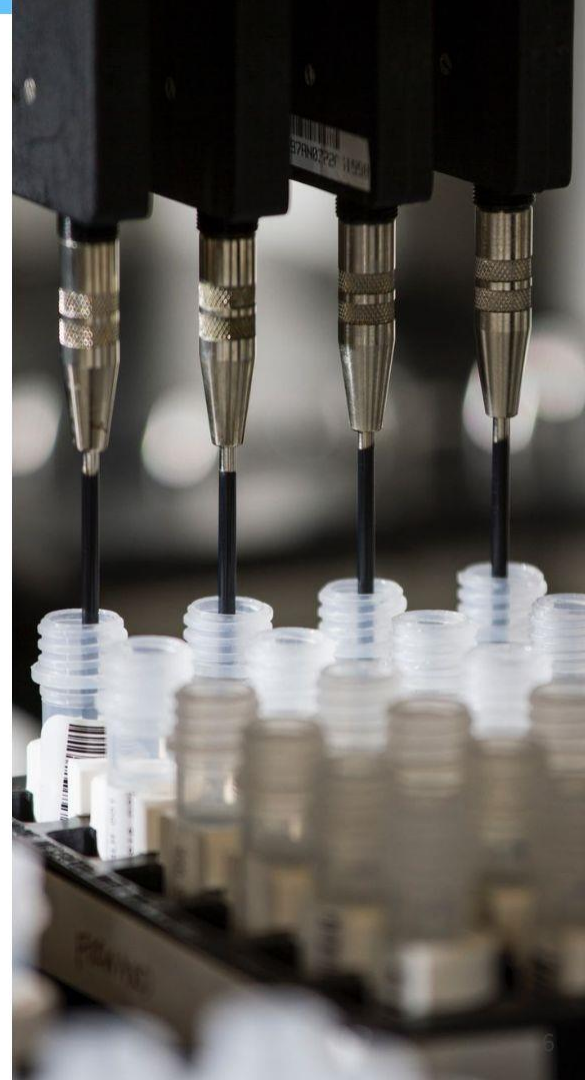


Совершенствование CRISPR - технологии

- Основная проблема CRISPR - это так называемые “нецелевые эффекты” - риск возникновения непредусмотренных изменений в других частях генома;
- Новая версия технологии, разработанная международным коллективом ученых, позволяет производить поиск и замену целевых участков ДНК, снижая риск возникновения “нецелевых эффектов”;

в основе этой технологии дополнение фермента CAS9 белком - обратной транскриптазой, позволяющей более точно направлять его на целевой участок ДНК;

- Для дальнейшего развития технологии и применения ее в медицине создан стартап Prime Medicine.



Первые, в мировой практике, пациенты начали получать CRISPR - лечение

- Эксперименты проводятся для рака и наследственных генетических заболеваний;
- В случае рака ожидается, что использование CRISPR - терапии сделает клетки рака более уязвимыми для иммунитета и обычных препаратов;
- Для генетических заболеваний CRISPR - технологии позволяют снять проблемы в метаболизме, вызванные болезнью.



Модификация CRISPR - метода позволяет увеличить точность и число редактируемых генов

- Опубликованные результаты наблюдений, занявших несколько лет показывают, что риски мутаций при использовании CRISPR - методов сопоставимы или меньше естественного фона мутаций при делении клеток;
- Использование нового фермента CAS12a, вместо традиционного CAS9 позволяет увеличить точность редактирования и обрабатывать одновременно до нескольких сотен генов.

