



Mit der Gen-Schere den Code des Lebens neu schreiben

Emmanuelle Charpentier und Jennifer A. Doudna wurden für die Entdeckung eines der effektivsten Werkzeuge der Gentechnologie ausgezeichnet – der Gen-Schere CRISPR/Cas9. Mit diesem Werkzeug können Forscher die DNA von Tieren, Pflanzen und Mikroorganismen mit extrem hoher Präzision modifizieren. Damit hat diese Technologie die molekulare Lebenswissenschaften revolutioniert und neue Möglichkeiten in der Pflanzenzucht eröffnet. Darüber hinaus könnte sie den Traum von der Heilung von Erbkrankheiten wahr werden lassen.

Um die innere Funktionsweise des Lebens noch besser zu verstehen, müssen Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler Gene in Zellen modifizieren, was früher oft eine zeitraubende und teils unmögliche Arbeit war. Das Genom einer Zelle gleicht einer riesigen Bibliothek mit tausenden Büchern, sodass die Lokalisierung eines bestimmten Gens und die Änderung seines Codes aussichtslos schien. Mit der Gen-Schere CRISPR/Cas9 kann man den Code eines Gens nun innerhalb weniger Wochen modifizieren. Wie so oft in der Wissenschaft wurde die Gen-Schere eher zufällig entdeckt: **Emmanuelle Charpentier** untersuchte ein pathogenes Bakterium, den *Streptococcus pyogenes*. Dabei stieß sie auf ein bis dahin unbekanntes Molekül, *tracrRNA*, das sich als wichtiger Bestandteil des sehr alten Immunsystems des Bakteriums, herausstellte: CRISPR/Cas.

CRISPR/Cas schützt Bakterien vor Viren. Das System bildet eine Art Molekül-Schere, die die Virus-DNA erkennt und spaltet. Im Rahmen ihrer Zusammenarbeit gelang es Emmanuelle Charpentier und **Jennifer Doudna**, die Gen-Schere der Bakterien im Reagenzglas nachzubauen. In einem bahnbrechenden Experiment konnten sie dann die Gen-Schere umprogrammieren und nachweisen, dass die Schere jedes beliebige DNA-Molekül an einer vorbestimmten Stelle spalten kann. An der Schnittstelle der DNA ist es einfach, den Code des Lebens umzuschreiben.

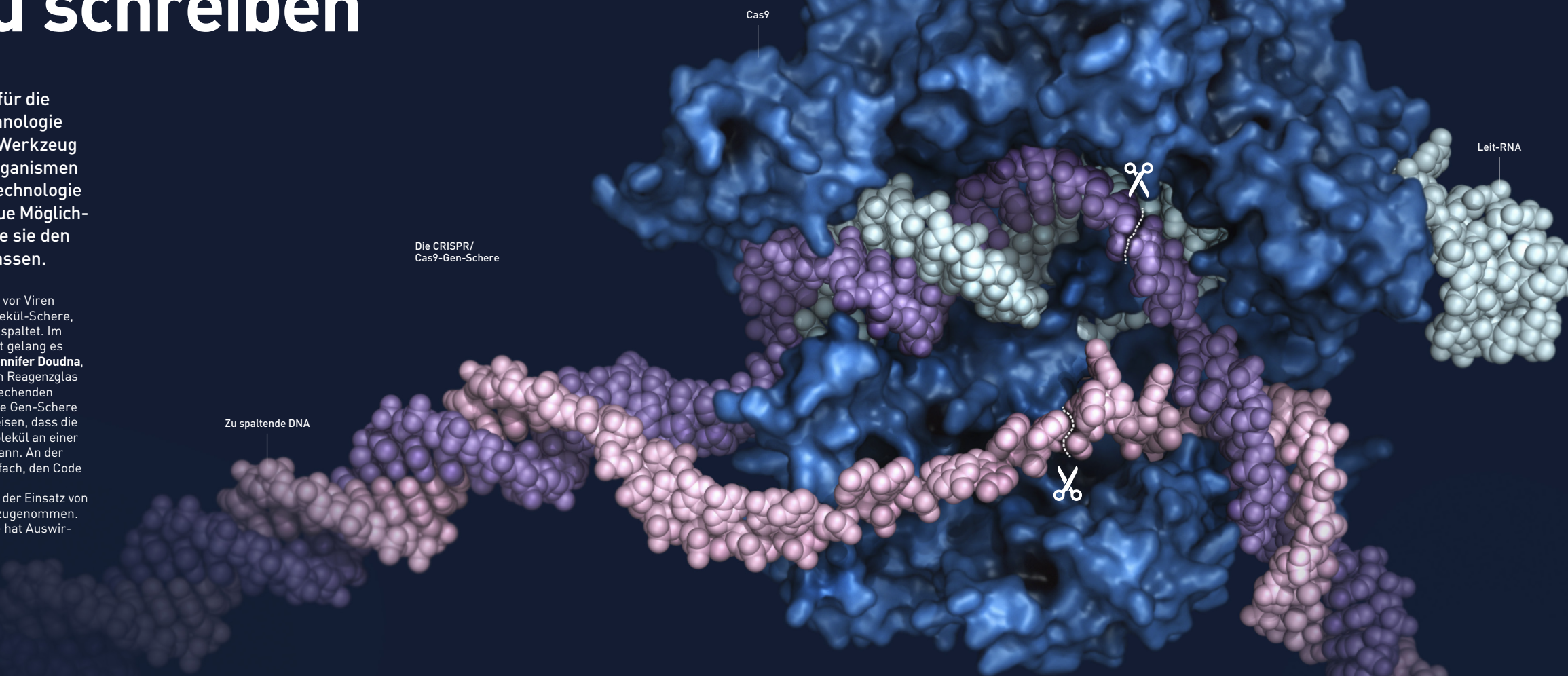
Seit der Entdeckung 2012 hat der Einsatz von CRISPR/Cas9 explosionsartig zugenommen. Diese leistungsstarke Methode hat Auswirkungen auf jeden von uns.

Emmanuelle Charpentier

Geboren 1968 in Frankreich. Direktorin der Max-Planck-Forschungsstelle für die Wissenschaft der Pathogene, Berlin, Deutschland.

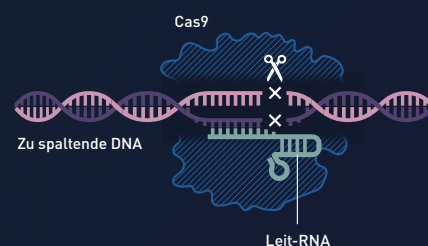
Jennifer A. Doudna

Geboren 1964 in den USA. Professorin an der University of California, Berkeley, USA.



Gen-Schere, die DNA spaltet

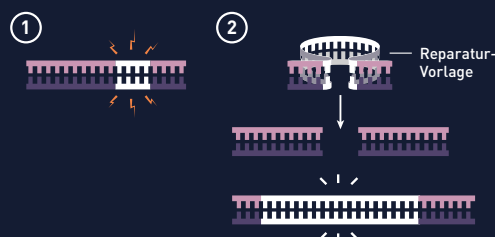
Wenn Forscherinnen und Forscher ein Genom bearbeiten wollen, konstruieren sie eine künstliche Leit-RNA, die dem DNA-Code entspricht, an dem der Schnitt vorgenommen werden soll. Das Scherenprotein Cas9 verbindet sich mit der Leit-RNA und platziert die Schere an der richtigen Stelle im Genom.



Der Code des Lebens wird bei der Reparatur von DNA umgeschrieben

Forscherinnen und Forscher können der Zelle selbst die Reparatur des Schnitts in der DNA ermöglichen (1). Meist wird so die Gen-Funktion deaktiviert.

Wenn sie ein Gen einfügen oder editieren wollen, entwerfen sie dafür eine DNA-Schablone (2). Die Zelle nutzt diese Vorlage, wenn sie den Schnitt im Gen repariert, was zu einer Veränderung des genetischen Codes führt.



Werkzeug für Grundlagenforschung

Weltweit verwenden Forscherinnen und Forscher diese Gen-Schere zum Verständnis, wie Genome die Funktionsweise von Zellen und Organismen steuern. Das Deaktivieren oder Bearbeiten eines Gens lässt seine Funktion zum Beispiel bei Krankheiten erkennen.

Revolutionierung der Pflanzenzucht

Pflanzenforscher sind inzwischen in der Lage, zielgerichtet Pflanzen zu züchten, die die Dürre in heißen Klimazonen besser vertragen oder gegen Schimmel und Schädlinge resistent sind. So konnten sie Reis zum Beispiel so modifizieren, dass er keine giftigen Schwermetalle wie Arsen aus dem Boden aufnimmt.

Heilung von Erbkrankheiten

In der Medizin trägt die Gen-Schere zu neuen Immuntherapien bei Krebs bei. Zudem laufen Untersuchungen, die einen Traum wahr werden lassen könnten: die Heilung von Erbkrankheiten. Im Rahmen klinischer Studien wird untersucht, ob CRISPR/Cas9 bei der Behandlung von Blutkrankheiten wie Sichelzellenanämie, Beta-Thalassämie oder erblichen Augenkrankheiten hilft.

Die Genom-Editierung wird nur zur Behandlung bestimmter Gewebe verwendet, da es derzeit verboten ist, Geschlechtszellen oder Embryonen in einer Weise zu editieren, die diese Veränderungen vererbbar machen würde. Die Menschheit wird durch die Gen-Schere mit zahlreichen neuen ethischen Fragestellungen konfrontiert. Gleichzeitig wird sie zur Lösung vieler Probleme in der Welt beitragen.