



Das optimierte Leben: Wie die „Genschere“ die Welt verändert

4 Basen, paarweise

A = Adenin; T = Thymin; G = Guanin; C = Cytosin

Buchtitel: Das GEN Eine sehr
persönliche Geschichte
Siddhartha Musherjee
Autor: F. Fischer
Seite 432-433

Das Buch des Menschen (in 23 Kapiteln)

Ist der Mensch nicht mehr als das?
- Betracht ihn recht!
Shakespeare, König Lear

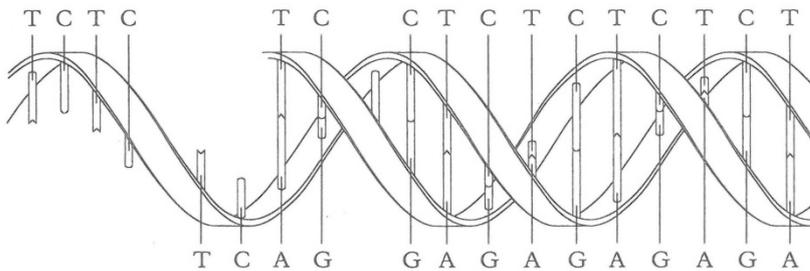
Hinter den Bergen gibt es weitere Berge.
Haiitianisches Sprichwort

- Das Buch des Menschen umfasst 3 088 286 401 DNA-Buchstaben (plus/minus einige wenige; nach neuerer Schätzung umfasst es etwa 3,2 Milliarden Buchstaben).
- Würde man es als Buch in einer Standardschriftgröße veröffentlichen, enthielte es nur vier Buchstaben – AGCTTGCAGGGG und so weiter – die sich in einer fortlaufenden Reihe unergründlich, Seite für Seite, über mehr als 1,5 Millionen Seiten erstrecken würden – also über das 66-Fache der *Encyclopedia Britannica*.
- Es gliedert sich in den meisten Körperzellen in 23 Chromosomenpaare – also insgesamt 46 Chromosomen. Bei allen anderen Affen einschließlich Gorillas, Schimpansen und Orang-Utans sind es 24 Chromosomenpaare. An irgendeinem Punkt der Hominidenevolution verschmolzen zwei mittelgroße Chromosomen bei einem Affenvorfahren zu einem. Das Humangenom trennte sich vor mehreren Millionen Jahren vom Affengenom und entwickelte im Laufe der Zeit neue Mutationen und Variationen. Wir haben ein Chromosom verloren, aber einen Daumen gewonnen.
- Es enthält insgesamt etwa **20 687 Gene** – nur 1796 mehr als das Genom von Würmern, 12 000 weniger als das von Mais und 25 000 weniger als das von Reis oder Weizen. Der Unterschied zwischen „Mensch“ und „Frühstücksflocken“ beruht nicht auf der Anzahl der Gene, sondern auf dem Differenzierungsgrad genetischer Netzwerke. Entscheidend ist nicht, was wir haben, sondern wie wir es nutzen.

„Wichtige biologische Objekte treten paarweise auf“

Die Lösung war von solcher Schönheit, dass sie unmöglich falsch sein konnte. Watson erinnerte sich später, dass „Francis in den 'Eagle' hinüberflatterte und allen, die sich in Hörweite befanden, verkündete, wir hätten das Geheimnis des Lebens entdeckt“

Die Doppelhelix der DNA ist ein ikonenhaftes Bild, das sich in Geschichte und Gedächtnis der Menschheit eingebrannt hat wie das rechtwinklige Dreieck des Pythagoras, die Höhlenmalereien von Lascaux, die Pyramiden von Gizeh oder das Bild des blauen Planeten, vom Weltraum aus gesehen. In Texten verwende ich nur selten biologische Diagramme – denn gewöhnlich sieht das geistige Auge detailreicher. Manchmal muss man jedoch ausnahmsweise mit Regeln brechen:



Die Doppelhelix enthält zwei miteinander verschlungene DNA-Stränge und ist rechtshändig, also im Uhrzeigersinn drehend wie eine Schraube mit Rechtsgewinde. Die Gesamtlänge des DNA-Moleküls beträgt 23 Ängström – also einige Zehntausendstel eines tausendstel Millimeters. Eine Million Helices nebeneinander würden in diesen Buchstaben passen: o. Der Biologe John Sulston schrieb: „Wir sehen die Doppelhelix als recht kurz und dick, weil man ihre anderen auffallenden Merkmale selten zeigt: Sie ist ungeheuer lang und dünn. In jeder Zelle unseres Körpers befinden sich zwei Meter davon; würden wir eine vergrößerte Darstellung der DNA zeichnen, in der sie so dick wie ein Faden Nähgarn wäre, hätte die DNA einer Zelle eine Länge von etwa zweihundert Kilometern“

Buchtitel: Das GEN Eine sehr persönliche Geschichte
Siddhartha Musherjee
Autor: F. Fischer
Seite 215

„Ich hatte zwei Heureka-Momente“

Vor ein paar Jahren noch war Emanuelle Charpentier eine kaum bekannte Molekularbiologin an der Universität Wien. Heute ist sie ein Weltstar. In einem Interview erzählt sie, wie zwei Experimente ihr Leben veränderten.

Falls man bei den Buchmachern auf zukünftige Nobelpreisträger wetten kann, die Französin Emanuelle Charpentier wäre, wie es im Toto heißt, eine Bank: Dass sie und ihre US-Kollegin Jennifer Doudna die Auszeichnung in den nächsten Jahren bekommen werden, gilt als so gut wie sicher.

Grund dafür ist ein auf den ersten Blick unscheinbarer Verteidigungsmechanismus von Bakterien. Die Mikroben wollen verhindern, dass Viren in ihr Erbgut eindringen und sich auf Kosten ihrer Wirte vermehren. Die Lösung für dieses Problem heißt CRISPR/Cas - eine genetische Maschine, mit der die Bakterien Fremd-DNA erkennen und wieder aus ihrem Erbgut entfernen.

Charpentier und Doudna erkannten als erste, dass man dieses von der Evolution geschaffene System auch für die künstliche Manipulation von Genen verwenden könnte. Das war bisher zwar auch schon möglich. Doch mit Hilfe von CRISPR/Cas vermögen Wissenschaftler nun so einfach und so präzise ins Erbgut von Einzellern, Pflanzen und Tieren einzugreifen, sodass sich die Grenze zwischen dem Natürlichen und dem Künstlichen aufzulösen scheint: Technisch betrachtet ist nun (fast) alles möglich. Zu diesem Urteil kamen auch die Herausgeber des Fachjournals „Science“. Sie wählten Charpentiers Entdeckung zum wissenschaftlichen Durchbruch des Jahres 2015.



Gen-Schere „CRISPR“: Erster Test am Menschen

Die neue Methode hat die Molekularbiologie im Sturm erobert: Nun soll die Gen-Schere „CRISPR“ erstmals an Krebspatienten getestet werden. Der Versuch ist nicht unumstritten.

Blickt man auf die Geschichte der Molekularbiologie, dann gab es wohl nur einen vergleichbaren Fall, bei dem die Entwicklung so rasant vor sich ging. 1985 stellte der amerikanische Biochemiker Kary Mullis eine Methode vor, mit der man DNA schnell und in fast beliebigen Mengen vervielfältigen konnte. Seine Erfindung, PCR genannt, wurde binnen kürzester Zeit zu einem unverzichtbaren Werkzeug in den Forschungslabors dieser Welt. Die offizielle Anerkennung von Mullis' Pioniertat ließ ebenfalls nicht lange auf sich warten: Er erhielt 1993 den Nobelpreis für Chemie.

Ähnlich verhält es sich nun mit CRISPR/Cas. Die Französin Emmanuelle Charpentier und die Amerikanerin Jennifer Doudna hatten das aus Bakterien stammende Enzymsystem erstmals vor vier Jahren verwendet, um die DNA von Lebewesen gezielt zu verändern. Heute tut das in diesem Metier jeder - die Methode ist einfach, wirkungsvoll und binnen weniger Jahre vollständig in den Forschungsalltag eingewachsen. Das ging so rasch vor sich, dass man sich heute kaum mehr vorstellen kann, wie umständlich solche Eingriffe einst waren.

Nun soll die Methode auch erstmals an Menschen getestet werden, und zwar an 18 Krebspatienten aus den USA, bei denen herkömmliche Therapien wirkungslos geblieben waren. Der klinische Versuch, eine Kombination aus Immun- und Gentherapie, wurde soeben von den amerikanischen Institutes of Health (NIH) bewilligt.

Genetisch aufgerüstete T-Zellen

Der Plan der Forscher: Sie wollen den Patienten spezielle Immunzellen - T-Zellen - entnehmen, sie im Labor für ihren Angriff auf den Tumor „scharf“ machen und sie dann wieder in den Körper der Patienten einsetzen. Dazu sind drei Mutationen nötig. Die T-Zellen erhalten ein zusätzliches Gen, mit dessen Hilfe sie Krebszellen erkennen können.

Außerdem wollen die Wissenschaftler zwei Gene aus dem Erbgut der T-Zellen entfernen. Das eine deshalb, weil es die Zerstörung des Tumorgewebes stören könnte, der dritte gentechnische Eingriff dient der Tarnung: Das betroffene Gen weist die T-Zellen als Immunzellen aus - ist es nicht da, hat der Tumor weniger Möglichkeiten, dem Angriff auszuweichen.

Darf die Gen-Schere auch beim Menschen schneiden?

Das Erbgut aller Lebewesen exakt verändern: Das kann man mit der Gen-Schere „CRISPR/Cas“. Ob man sie auch bei Menschen einsetzen darf oder soll – darüber haben heute in Wien Bioethiker diskutiert.

Das Treffen von Experten aus Österreich, der Schweiz und Deutschland war höchst aktuell. Denn erst vor wenigen Tagen wurde die Gen-Schere in China erstmals bei einem Versuch an Menschen angewendet, wie science.ORF.at berichtet hat. Auch in den USA wird es in Kürze ähnliche klinische Studien geben, in Europa ist „CRISPR/Cas“ in der Grundlagenforschung weit verbreitet.

Veränderung in der Keimbahn verboten

Es ist leicht möglich, dass sie in der medizinischen Forschung schnell Fuß fassen wird, erklärte Christiane Druml, Vorsitzende der Bioethikkommission beim Bundeskanzleramt. Und zwar auch in Europa: In Schweden wollen etwa aktuell Forscher mit Hilfe der Gen-Schere Gründe für das Absterben von Embryonen im Mutterleib und die daraus folgende Unfruchtbarkeit der Eltern erforschen, so Andrea Büchler von der Schweizer Nationalen Ethikkommission im Bereich der Humanmedizin.

Veränderungen, die an Folgegenerationen weitergegeben werden, also in der Keimbahn, seien jedenfalls aktuell in Österreich und der Schweiz verboten. Bei der Therapie in „normalen“ Körperzellen (somatische Zellen) müsse man von Fall zu Fall unterscheiden. Das Regelwerk in Europa ist im weltweiten Vergleich sehr streng, erklärten die Expertinnen.

Kann eine große Chance sein

Man dürfe bei der Diskussion um mögliche Risiken nicht die Möglichkeiten der neuen Technik vergessen, meint Druml. „Es gibt im Krankenhausalltag viele Fälle, wo die Mediziner überhaupt keine Möglichkeiten haben, den Patienten ursächlich zu helfen, vielleicht tut sich hier mit der CRISPR/Cas-Technologie eine neue Chance auf.“

Wenn etwa ein möglicher Eingriff in die Keimbahn mit keinerlei Risiken verbunden ist, müsse man diskutieren, ob man nicht über Verbote, sondern über Gebote sprechen müsste. Kann man etwa an Zystischer Fibrose (Mukoviszidose) erkrankte Personen samt ihrer Nachkommen beinahe risikolos von dem Leiden befreien, wäre es ethisch vielleicht schwer vertretbar, ihnen diese Möglichkeit vorzuenthalten.

AAAS für Eingriff in menschliche DANN

Eine Expertenkommission der US-Akademie der Wissenschaften (AAAS) befürwortet Eingriffe in die DNA befruchteter menschlicher Eizellen und früher Embryonen. Und zwar, um schwere Erbkrankheiten zu verhindern, und nur „unter sehr strikter Kontrolle“.

Die internationalen Experten verweisen in einem neuen Bericht darauf, dass die Gentechnik-Methode CRISPR/Cas9, mit der sich DNA-Sequenzen schneller, billiger und zielgenauer verändern lassen, bereits genutzt werde. Diese „Gen-Schere“ habe zu einer „Explosion neuer Forschungsmöglichkeiten und potenzieller klinischer Anwendungen“ im Gesundheitsbereich geführt.

Der Bericht

“Human Genome Editing: Science, Ethics, and Governance”, The National Academy Press, 14.2.2017

Ethische Bedenken

Kritiker äußern angesichts solcher Methoden ethische Bedenken und die Furcht vor einer genetisch manipulierbaren Menschheit. Denn wenn die DNA in Keimzellen verändert wird, vererben sich die neuen Sequenzen an die nachfolgenden Generationen. In den USA gibt es keine Bundesmittel für genetische Manipulationen.

Großbritannien hatte im Februar 2016 erstmals die Genmanipulation an Embryonen im Rahmen eines Forschungsprogramms zu Fehlgeburten erlaubt. Mit Hilfe der CRISPR/Cas9-Methode sollten kranke Gene in der DNA bestimmt und gezielt ausgeschaltet werden.

Die gentechnische Veränderung von Embryonen zu therapeutischen Zwecken ist in Großbritannien nicht erlaubt. Erlaubt ist sie dagegen seit dem Jahr 2009 zu Forschungszwecken unter der Bedingung, dass die verwendeten Embryonen nach spätestens zwei Wochen vernichtet werden.

CRISPR: Die Österreich-Connection

<https://science.orf.at/m/stories/2827474> 13. September 2019

Die Patente für die Genschere CRISPR/Cas9 könnten in Zukunft Millionen einbringen. Der aufsehenerregende Rechtsstreit um deren Vergabe hat auch einen Österreich-Bezug: Die Universität Wien ist an einem Patent beteiligt.

Bis 2009 forschte Emmanuelle Charpentier als mehr oder minder unbekannte Mikrobiologin am Vienna Biocenter im dritten Wiener Gemeindebezirk. Dann verließ sie die Stadt und wurde, so man diesen Begriff auf die Wissenschaft übertragen kann, ein Weltstar.

Grund für diesen Karrieresprung war ihre Entdeckung der Geneditierungs-Methode CRISPR/Cas9. Wobei mit „Entdeckung“ eigentlich zwei Erkenntnisse gemeint sind. Die erste betrifft die Frage, wie CRISPR, ursprünglich ein Abwehrmechanismus von Bakterien gegen invasive Viren-DNA, funktioniert. Die zweite die Einsicht, dass man das Ganze auch für die gezielte Manipulation von Genen verwenden könnte.



Privat: Co-Erfinder Krzysztof Chylinski forscht noch am Vienna Biocenter

Wiener „Heureka-Momente“

Die „Heureka-Momente“ für das erste Problem hatte sie in Wien, erzählte Charpentier letztes Jahr in einem Ö1-Interview. An den entscheidenden Experimenten beteiligt war ihr damaliger Dissertant, Krzysztof Chylinski. Sein PhD-Studium, sagt der aus Polen stammende Molekularbiologe, sei eine großartige Zeit gewesen. „Es gab immer viel zu tun, aber es war niemals langweilig. Und wir hatten eine wirklich große Story. Das ist der Traum eines jeden Dissertanten.“

Neben Publikationen in renommierten Fachjournalen, darunter „Nature“ und „Science“, brachte ihm die Entdeckung auch die Beteiligung an einem Patent ein, das die University of California in Berkeley beim amerikanischen Patentamt eingereicht hat. Es könnte, so es bewilligt wird, dereinst Lizenzgebühren in Millionenhöhe abwerfen. Nutznießer dessen wäre primär die Universität Wien, doch auch Chylinski stünde ein Anteil zu - die sogenannte Erfindervergütung.

In Ausnahmefällen haben Universitäten in den USA durch Patente schon mehr als zehn Millionen Dollar pro Jahr eingenommen. Wie hoch die Beträge im Fall der Uni Wien sein könnten, sei nicht abzusehen, sagt Ingrid Kelly Spillmann, ebenda Expertin für Technologietransfer. „Das ist ein Pionier-Patent. Wir müssen abwarten, es ist noch alles ungewiss.“ Wie der Vertrag zwischen Berkeley und der Universität Wien aussieht, will Kelly Spillmann nicht zuletzt aufgrund des laufenden Patentverfahrens nicht sagen, nur so viel: „Es handelt sich um einen normalen Vertrag für pharmazeutische Produkte. Wir sind Miteigentümer.“

Broad mit aggressiver Patent-Strategie

Der aktuelle Patentstreit zwischen Berkeley und dem Broad-Institut (siehe: CRISPR-Patentstreit: Die Folgen des Urteils) offenbart, dass selbst in der Liga der amerikanischen Elite-Universitäten große Unterschiede bestehen, wenn es um den Business-Aspekt der Wissenschaft geht.

Die Berkeley-Forscher reichten ihr Patent im Mai 2012 ein, jene vom Broad-Institut waren ein halbes Jahr später dran, aber imstande, ihre Konkurrenz in der Beurteilungsphase durch das US Patent and Trademark Office zu überholen. „Das Broad-Institut ging hier viel aggressiver vor - und war damit auch erfolgreich“, sagt die Wiener Patentanwältin Gerda Redl.

Die Bilanz: Broad hält mittlerweile 13 CRISPR/Cas9-Patente in den USA und acht in Europa. Berkeley wartet immer noch auf die Bewilligungen, in den USA ebenso wie in Europa.

Mit Ellbogentechniken im Patentwesen will sich Krzysztof Chylinski indes nicht beschäftigen. Er forscht nach wie vor in Wien am Thema CRISPR/Cas9 und versucht, die Methode weiter zu verbessern. Die „große Story“ sei für seine Karriere ohne Zweifel nützlich gewesen - und wäre es wohl auch für einen Job an einer anderen Universität. „Das kann Türen öffnen, keine Frage. Doch ich bin sehr glücklich mit meinem Job. Und ich mag Wien. Ich will nicht weg.“

Patent für CRISPR-Genschere an Uni-Wien

Mit der „Genschere“ CRISPR lässt sich das Erbgut von Tieren und Pflanzen gezielt verändern. Seit Jahren streiten Forscher um Patente – nun darf sich die Erfinderin Emmanuelle Charpentier freuen, und mit ihr die Uni Wien.

Denn nach dem europäischen hat nun auch das US-Patentamt den Erfindungsgeist von Emmanuelle Charpentier mit Schutz auf geistiges Eigentum gewürdigt. Es erteilte zwei Patente an die Forscherin, die Universität Wien, wo sie ihre Arbeit dazu begann, und die University of California Berkely (USA), wo ihre Partnerin Jennifer Doudna werkt.

Vergangene Woche gewährte das US Patent and Trademark Office (USPTO) zunächst ein Patent für die Benutzung der Genschere CRISPR/Cas9 bei Einzelstrang-RNA. Am Dienstag folgte nun der Patentschutz für die französische Mikrobiologin Charpentier und die Universitäten Wien und Berkeley, Erbgut-Regionen von zehn bis 15 „Buchstaben“ (Nukleotide) zu verändern.

„Dies wird besonders hilfreich dabei sein, Therapeutika für Menschen zu entwickeln sowie Verbesserungen in der Ernährungssicherheit zu erreichen“, so die Uni Berkeley in einer Aussendung.



Patentstreit: Die Folgen des Urteils

<https://science.orf.at/m/stories/2827374> 13. September 2019

Um die revolutionäre Gentech-Methode CRISPR/Cas9 ist ein Patentstreit unter Forschern entbrannt. Das amerikanische Broad-Institut hat nun einen Etappensieg errungen - doch die Auseinandersetzung ist damit nicht beendet. Was bedeutet das Urteil für die Wissenschaft?

Berkeley gegen Broad, das grenzt an Brutalität, könnte man mit einem alten Wort von Helmut Qualtinger sagen. Der Patentstreit war in der Tat resolut geführt, die Fachmagazine „Nature“ und „Science“ schreiben gar von einer „Schlacht“, die sich da auf rechtlichem Terrain zugetragen habe.

Auf der einen Seite die beiden Molekularbiologinnen Jennifer Doudna und Emmanuelle Charpentier, vertreten durch die Anwälte der University of California in Berkeley. Auf der anderen Seite der Neurowissenschaftler Feng Zhang, ebenfalls durch eine Elite-Institution der amerikanischen Forschungslandschaft vertreten, das Broad-Institut in Cambridge, Massachusetts.

Die Ausgangslage: Doudna und Charpentier gelten als Entdeckerinnen der Genschere CRISPR/Cas9, die in wenigen Jahren die Biologie revolutioniert hat. „Revolution“ ist in diesem Fall nicht zu hoch gegriffen: Die Methode ist so einfach und präzise, sodass sie heute praktisch jeder verwendet, der Gene in irgendeiner Form verändern möchte. Die beiden Forscherinnen haben in den USA auch als erste ein Patent für dieses Werkzeug eingereicht.

Zhang wiederum wies nach, wie man die Methode auch auf Zellen mit echtem Zellkern (also potenziell auch auf Versuchstiere, Nutzpflanzen, Menschen) anwenden könnte - und wollte sich diese Erkenntnis ebenfalls patentrechtlich schützen lassen. Das empfand die Gegenpartei als Ideenklau und rief das US Patent and Trademark Office (PTO) zur Klärung der Priorität an.

Urteil: Broad erhält Patent

Doch Zhang bekam nun in erster Instanz Recht. Das PTO urteilte letzte Woche, dass seine Entdeckung eigenständig genug sei und bewilligte seine Patente. Doudna und Charpentier warten indes noch auf die Bearbeitung ihres - noch breiter angelegten - Antrags. Dass die beiden Forscherinnen über die PTO-Entscheidung nicht erfreut sind, liegt auf der Hand.

Doudnas Kommentar: Das Broad-Institut „hat nun das Patent auf grüne Tennisbälle. Wir aber werden ein Patent auf alle Tennisbälle bekommen. Ich finde nicht, dass das einen Sinn ergibt.“

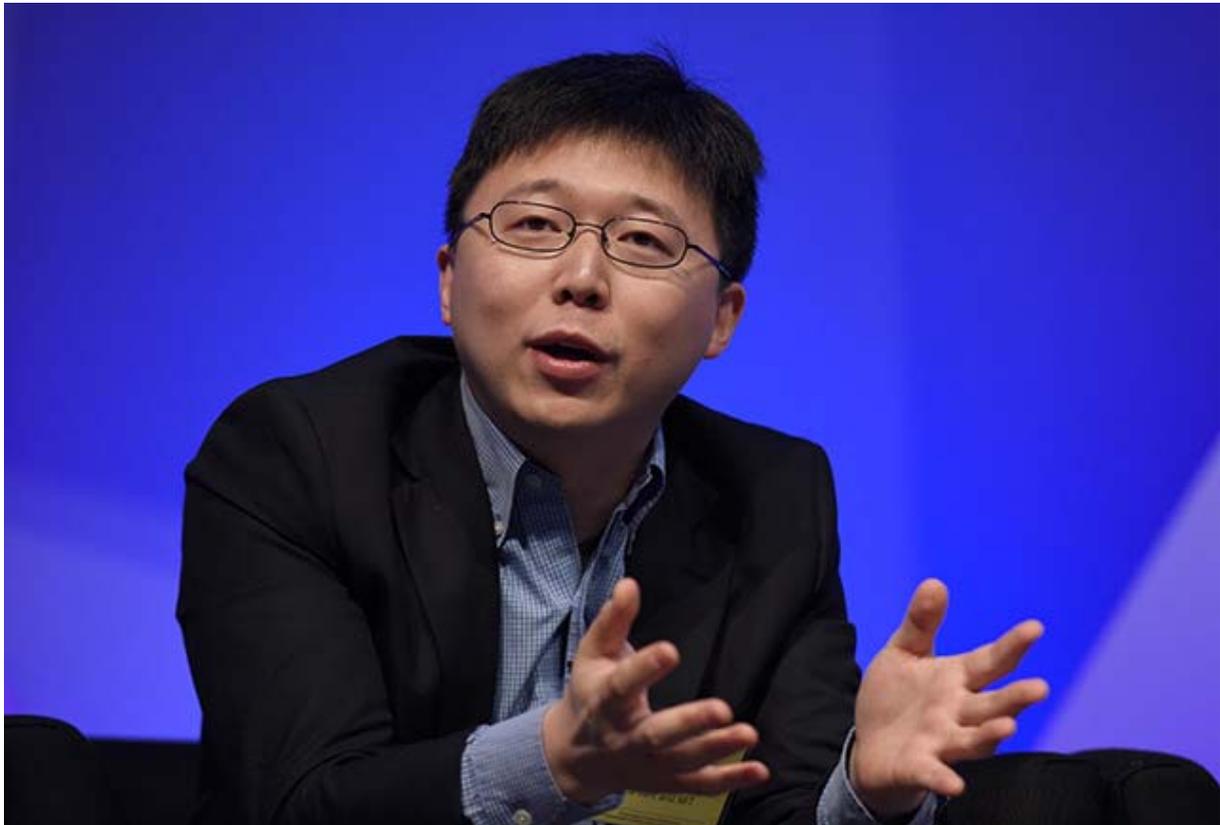


Hinter der Auseinandersetzung stehen handfeste wirtschaftliche Interessen. Die Wissenschaftler haben alle Anteile an Biotech-Firmen, die mit den zu erwartenden Lizenzgebühren Millionen verdienen könnten. Am Patent von Berkeley ist übrigens auch die Uni Wien beteiligt - Charpentier hat, bevor sie zum internationalen Wissenschaftsstar avancierte, einige Jahre am Vienna Biocenter geforscht, die patenrechtliche Verbindung rührt aus dieser Zeit - siehe dazu: CRISPR - die Österreich-Connection.

„Lizenzen kein Problem für Forschung“

Die Wiener Patentanwältin Gerda Redl betrachtet das Urteil als „fair“. Dass für ähnliche Entdeckungen mehrere Patente erteilt werden, sei durchaus Usus, auch in Europa. Und das war erst der Anfang: Im Fall von CRISPR warten mittlerweile insgesamt 1.000 Patentanträge von Forschern aus aller Welt auf ihre Bearbeitung. Das könnte durchaus bedeuten, dass Nutzer in Zukunft „zwei, drei, vielleicht sogar zehn Lizenzen zu zahlen haben“, so Redl.

Theoretisch. Denn die Firmen, die jetzt um die Rechte der Technologie streiten, bieten die Produkte, mit denen sie einmal Geld verdienen wollen, noch gar nicht an. Sie haben weder zugelassene Therapien für erbliche Krankheiten entwickelt noch optimierte Nutzpflanzen.



Was es bisher als Produkt gibt, sind Tests für die Diagnostik und Reagenzien für die Grundlagenforschung. Wobei letztere laut dem (im österreichischen Patenrecht nur indirekt verankerten) „Forschungsprivileg“ von Lizenzgebühren ausgenommen sind, sofern die Versuche, wie es im Juristendeutsch heißt, keinem „betriebsmäßigen“ Nutzen dienen.

Falls die österreichischen Unis und Forschungszentren in Grenzfällen dennoch Lizenzen zu zahlen haben, dann wird das wohl nicht die Welt kosten. Laut Redl könnten sie im Bereich von fünf bis zehn Prozent des Preises der benötigten Enzyme und Moleküle liegen: „Ich sehe hier kein großes Problem für die Forschungswelt.“

PCR: Die Geschichte wiederholt sich

Vor 30 Jahren gab es bereits einen ähnlich gelagerten Fall. Damals fand der Amerikaner Kary Mullis eine erstaunlich einfache Methode namens PCR, mit der man DNA vervielfältigen konnte. Auch dieses Verfahren wurde innerhalb weniger Jahre zum weltweiten Standard und löste einen Boom aus. Die Zahl der monatlich eingereichten Patente ging zwischenzeitlich in die Hunderten, sagt der Wiener Patentanwalt Daniel Alge. „Damals gab es Befürchtungen, das könnte die Forschung behindern. Doch das war nicht der Fall.“

Hier endet die Analogie zu CRISPR/Cas9: Die Forscher wollen neben der Ehr’ - alle drei gelten als Anwärter/innen auf den Nobelpreis - auch ihr Stück vom Kuchen. Um wieviel Geld es hier langfristig geht, ist zum gegenwärtigen Zeitpunkt schwer zu sagen, Hunderte Millionen Dollar sind laut Experten als Größenordnung nicht zu hoch gegriffen.

Forscher: Erste Gentech-Babys geboren

<https://science.orf.at/m/stories/2949522> 13. September 2019

Nach Angaben chinesischer Forscher sind vor einigen Wochen die ersten gentechnisch veränderten Babys auf die Welt gekommen. Sollte sich das bewahrheiten, wäre das ein revolutionärer Akt mit großen ethischen Fragezeichen.

Bis jetzt gibt es keine wissenschaftliche Dokumentation oder Studie zu der Behauptung des Biotechnologen Jiankui He von der South University of Science and Technology in Shenzhen. Spärliche Informationen finden sich allerdings im chinesischen Register für klinische Studien.

Laut Nachrichtenagentur AP hat He mit Hilfe der „Genschere“ CRISPR/Cas9 Erbanlagen von sieben Embryonen „eingeschaltet“, die gegen das HI-Virus schützen. Die Forscher zielten dabei auf das Gen für den CCR5-Rezeptor ab, an den sich HI-Viren für eine Infektion der Zelle anheften. Menschen ohne funktionales CCR5-Protein stecken sich nicht mit dem Virus an - ein berühmtes Beispiel ist der „Berlin-Patient“ Timothy Ray Brown.

Die Versuche fanden im Rahmen von künstlichen Befruchtungen statt, aus der bisher eine Schwangerschaft entstand. Im November seien auf diese Weise zwei Zwillingmädchen geboren worden. „Zwei wunderschöne kleine chinesische Mädchen namens Lulu und Nana kamen weinend und so gesund wie jedes andere Baby zur Welt“, sagte der Forscher He in einem am Sonntag auf YouTube verbreiteten Video

ORF.at zeigt derzeit Elemente aus sozialen Netzwerken wie Twitter, Facebook, Instagram oder YouTube in einer reduzierten Vorschau an. Dabei tauscht Ihr Browser keine Daten mit diesen Netzwerken aus. Bilder, Videos und ähnliche interaktive Elemente können so allerdings nicht dargestellt werden. Um Inhalte aus den sozialen Netzwerken vollständig anzuzeigen, haben Sie folgende Möglichkeiten:

Direkt von den sozialen Netzwerken eingebettete Elemente werden dauerhaft im ORF.at-Netzwerk aktiviert. Bilder, Videos etc. werden dadurch sichtbar. Sie können diese Einstellung jederzeit wieder deaktivieren.

Werden solche Elemente aus einem Netzwerk geladen, tauscht der Browser Daten mit diesem Netzwerk aus. ORF.at hat weder Zugriff noch Einfluss auf Inhalte und Art sowie Speicherung und Verarbeitung dieser Daten. Details dazu stellen alle sozialen Netzwerke in ihren eigenen Datenschutzzinformationen zur Verfügung.

Mögliche Anwendungen



Gentherapie

Es werden z. B. Blutstammzellen manipuliert, um Erkrankungen wie Sichelzellenanämie zu behandeln.



Gene-Drive

Ganze Populationen, etwa der Malaria-Mücke, werden genetisch so modifiziert, dass sie unfruchtbar werden oder Erreger nicht mehr übertragen.



Eingriffe in die menschliche Keimbahn oder Embryonen, um Erbkrankheiten zu heilen.



Grüne Gentechnik

Gewünschte Eigenschaften werden in das Erbgut von Nutzpflanzen wie Mais eingeschleust.

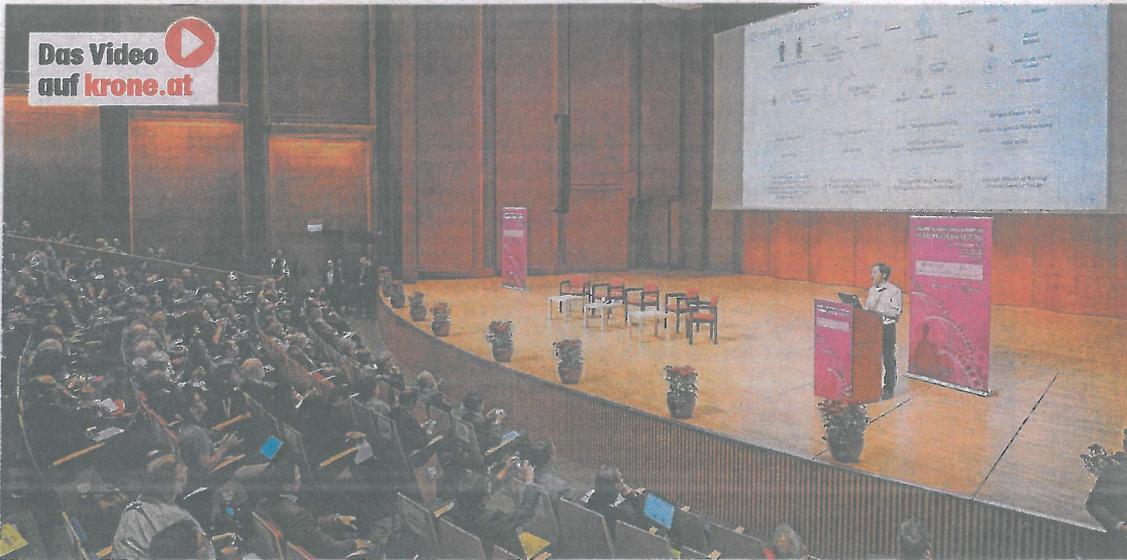
Grafik: APA/ORF.at; Quelle: APA

Bei den Experimenten handelt es sich um unverantwortliche Menschenversuche“, erklärte [Peter Dabrock](#), Vorsitzender des Deutschen Ethikrats, zu der Verkündung. „Ob es stimmt oder nicht, was der chinesische Forscher He behauptet: Zum gegenwärtigen Zeitpunkt sind solche Versuche und auch Ankündigungen auf Schärfste zu kritisieren.“

Und [Christiane Woopen](#), die Vorsitzende des Europäischen Ethikrates (EGE), meinte, dass es „die überwältigende Mehrheit der Forscher aus wissenschaftsethischen Gründen für unverantwortlich hält, zum jetzigen Zeitpunkt mit CRISPR veränderte Embryonen für die Fortpflanzung zu verwenden. Ein solcher Eingriff verstößt gegen internationale Menschenrechtsdokumente. Die chinesischen Forscher haben Menschenrechte verletzt und der Vertrauenswürdigkeit der Wissenschaft schweren Schaden zugefügt. Das sollte die internationale Gemeinschaft nicht dulden.“

Uni des Forschers ist „schockiert“

Ihm sei bewusst, dass seine Arbeit Diskussionen auslösen werde, erklärt He in seiner Videobotschaft. „Aber ich glaube, Familien brauchen diese Technik.“ Es gehe ihm nicht darum, Kinder zu erschaffen, deren IQ erhöht und deren Haar- und Augenfarbe ausgewählt werden kann, sagte er. Genveränderungen sollten „ein Instrument der Heilung“ bleiben: „Eltern wollen kein Designer-Baby, sondern nur eines, das nicht von Krankheit betroffen ist.“



He Jiankui (o.) spricht vor dem Genomforscher-Kongress in Hongkong (li.). Dort zeigt er sich stolz auf seine kritisierte Arbeit.

Foto: AFP

Foto: AFP

Somatische Gentherapie

- Eine Auswahl bestimmter Körperzellen wird im Labor gentechnisch verändert.
- Die Eizellen/Spermien sind von dieser Veränderung nicht betroffen.
- Die Nachkommen erben das veränderte Gen nicht.

Keimbahntherapie

- Die gentechnische Veränderung wird beim frühen Embryo vorgenommen.
- Aus dem Embryo entsteht ein Mensch, dessen Eizellen/Spermien ebenfalls gentechnisch verändert sind.
- Deshalb erben die Kinder und Kindeskinde das veränderte Gen.

Krone GRAFIK | Quelle: NZZ
Illustrationen: stock.adobe.com/tpandd, dima040293

Sein Auftritt bei Kongress in Hongkong

Arzt hat weiteres Baby genverändert

HONGKONG. Der chinesische Forscher, der hinter der Geburt von zwei genmanipulierten Mädchen steht, trat nun bei einem Genomforscher-Kongress in Hongkong vor Kollegen. He Jiankui entschuldigte sich für die Art, wie seine Arbeit an die Öffentlichkeit geraten ist. Jedoch steht er weiterhin hinter seinen Experimenten.

Einmal mehr haben Kollegen die Arbeit des Wissenschaftlers als „unverantwortlich“ kritisiert. Dennoch ist He Jiankui stolz auf sein Experiment. Durch den gezielten Eingriff ins Erbmolekül DNA mithilfe der Genschere Crispr/Cas 9 hat er bei Embryonen ein Gen namens CCR5 ausgeschaltet. Es ist die Eintrittspforte für Viren vom Typ HIV 1. Das verhindert, dass AIDS-Erreger in die Zellen der beiden Mädchen eindringen können. Ihre Identität ist geheim.

bei der Keimbahntherapie Veränderungen an nächste Generationen weitergegeben. Erst experimentierte Jiankui an Mäusen, dann an Makaken. Bei den Mäusen prüfte er, ob sein Eingriff zu Verhaltensänderungen führte. In Bezug auf Affen stellte er solche Untersuchungen nicht vor. Dann ging Jiankui zu menschlichen Embryonen über. Finanziert habe er sich selbst. Zudem gab Jiankui eine weitere Schwangerschaft in einem frühen Stadium bekannt. Weitere Implantationen von Embryonen hat er vorerst eingestellt.

Anders als bei der Somatischen Gentherapie werden

ANZEIGE

Ausdauerleistung: Darauf kommt es an

Beim Begriff „Ausdauer“ denkt man automatisch an Langstreckenläufer. Doch was ist mit der Working-Mum? Mit dem Manager, der ab 14 Uhr nicht mehr bei der Sache ist? Sie alle haben ein Energie-Defizit, wissen Mediziner. Sie raten zu einer Kombination aus B-Vitaminen, Vitamin C, Mangan, Eisen und den Energiebooster AKG als Energie-Schaukel. Apotheken empfehlen zur optimalen Energie-Bereitstellung MetaNorm®.



Die schwere Explosion eines Gefahrgut-Transporters vor einer Chemiefabrik im nordchinesischen Zhangjiakou forderte 23 Tote und 22 Verletzte. Das Feuer breitete sich rasch auf 38 Lastwagen und zwölf Autos aus.

Foto: AP

Einschnitt ins Menschsein

KirchenZeitung Diözese Linz – 6. Dezember 2018

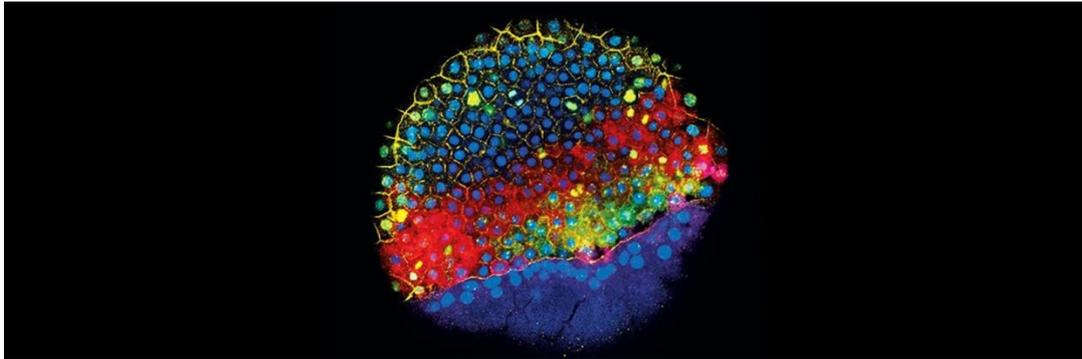


Es war ein unverantwortliches Experiment. Ein Versuch am Menschen – nicht rückgängig zu machen. Durchgeführt haben soll ihn der chinesische Forscher He Jiankui mit seinem Team. In einem YouTube-Video gab er vergangene Woche die Geburt von Zwillingsschwestern bekannt, bei denen er im Embryonalstadium das Erbgut mittels der Gen-Schere CRISPR/Cas9 (siehe Kasten) veränderte. Die unter dem Pseudonym „Lulu“ und „Nana“ geborenen Mädchen seien die ersten genmanipulierten Babys, sagte Jiankui stolz. Gemacht habe er diesen Eingriff, um die Kinder, deren Vater HIV-positiv ist, gegen Aids zu schützen.

Das ist der wissenschaftliche Durchbruch 2018

Sogenannte Einzelzellanalysen helfen, die Entwicklung von Lebewesen besser zu verstehen – für viele ist das der wichtigste Fortschritt des Jahres

Klaus Taschwer



Wie entsteht aus einer einzigen befruchteten Eizelle der ganze komplexe Körper eines Lebewesens, egal ob Gänseblümchen oder Afrikanischer Elefant?

2017 war die erste Dokumentation einer Neutronensternkollision die Toperrungenschaft, 2016 der erste Nachweis der Gravitationswellen, während man 2015 die CRISPR/Cas9 als Durchbruch des Jahres würdigte.

How the Gene-Silencing Studies Changed My Outlook on HD



[huntingtonsdiseaseneews.com/2019/06/06/gene-silencing-studies-changed-outlook/](https://www.huntingtonsdiseaseneews.com/2019/06/06/gene-silencing-studies-changed-outlook/)

Steven Beatty

June 6, 2019



Nobody is guaranteed a long life. Some people's experience on this planet is going to be shorter than others', even if they do everything they can to live a healthy lifestyle along the way. Having grown up with the dark cloud of Huntington's disease (HD) over the family, I was fully aware of that.

Prior to the positive result on my HD genetic test, I tried to avoid educating myself on the condition very much. All I really knew at the time was that it affected the brains of people who were afflicted with it at a young age. To me, Huntington's disease was a death sentence, pure and simple. Why would I want to know anything more?

My genetic test result

As I mentioned in a previous column, my genetic test results were given to me via a telephone call from the genetics counselor. There was a week in between that call and my follow-up appointment with the geneticist to discuss the plan of action moving forward. That week was the worst I've ever experienced.

I was still under the belief that Huntington's disease was an automatic ticket to an early demise. I remember having thoughts like, "*I'm not going to see my kids grow up,*" and, "*I won't be growing old with my wife.*" It was a horrible period of time.

When the follow-up appointment finally arrived, the doctor shared a great deal of information with me, but one topic stood out. He mentioned that there were a number of exciting advances in Huntington's disease research that were already happening or in the pipeline. He even went so far as to suggest that there may be a treatment available for *me* when I need it.

Me? I'm already in my 40s. Could that really be true?

My whole outlook on Huntington's disease changed

There was no time to waste, I needed to know more. No more ignoring the Huntington's disease elephant in the room out of fear. I began to read and learn as much as I could about the disease and all the exciting science and research surrounding it. A few weeks into this period of time, I attended an education event held by the Huntington Society of Canada at which they provided updates on the latest clinical studies that were being developed.

It was at this event that I began to learn more about gene silencing — more specifically, the study involving ISIS-HTT Rx (now known as the Genentech/Roche huntingtin-lowering therapy RG6042), which was in Phase 1 clinical study at the time. This was the first study to directly focus on the underlying cause of Huntington's disease: the mutant huntingtin protein. And it was to be administered to *real people*. Not mice. Not monkeys. *People*.

The hype and excitement surrounding this study, which is now in Phase 3, was palpable, and has continued to grow to this day. I embraced the excitement, and for the first time since learning the results of my genetic test, I was feeling *hopeful*. I realized the geneticist was being completely genuine when he said there may be a Huntington's disease treatment available in time for *me*.

My outlook changed because of the existence of that gene-silencing study. I experienced a real call to action and began to get more involved in fundraising and my local Huntington's disease community. But most importantly, I no longer felt the future was already written, with nothing ahead of me but a black tunnel. Now, there was light.

Let this science change your outlook, as well

An effective treatment for delaying the onset of Huntington's disease symptoms is close. Whether it be the gene-silencing method or another technique, it will come. Soon, there will be a treatment that can be taken orally (a pill), instead of through more invasive methods, such as lumbar puncture.

Allow yourself to follow the HD news and updates because there is a whole lot of good news out there. If you're like I was and think of Huntington's disease as an automatic death sentence, you will soon learn it is not.

Wie die „gen-silencing-studies“ meine Sichtweise auf die Huntington Krankheit verändert haben

Niemandem ist ein langes Leben garantiert. Die Erfahrung einiger Leute auf diesem Planeten wird kürzer sein als bei Anderen, auch wenn sie alles tun, um einen gesunden Lebensstil zu führen. Da ich mit der dunklen Wolke der Huntington-Krankheit (HD) über der Familie aufgewachsen bin, war ich mir dessen voll bewusst.

Vor dem positiven Ergebnis meines Huntington-Gentests habe ich versucht, mich nicht zu viel mit der Krankheit zu beschäftigen. Alles, was ich damals wirklich wusste, war, dass es das Gehirn von Menschen beschädigt. Für mich war die Huntington-Krankheit schlicht und einfach ein Todesurteil. Warum sollte ich mehr wissen wollen?

Mein genetisches Testergebnis

Wie in einem früheren Artikel erwähnt, wurden mir meine genetischen Testergebnisse übers Telefon mitgeteilt. Es verging eine Woche zwischen diesem Anruf und dem Folgetermin mit dem Genetiker, um den Aktionsplan zu besprechen. Diese Woche war die schlimmste, die ich je erlebt habe.

Ich war immer noch der Überzeugung, dass die Huntington-Krankheit ein „Freifahrtsschein“ für ein frühes Ableben war. Ich erinnere mich an Gedanken wie: "Ich werde meine Kinder nicht aufwachsen sehen; werde mit meiner Frau nicht alt". Es war eine schreckliche Zeit.

Als der Folgetermin endlich kam, teilte der Arzt viele Informationen mit mir, aber ein Thema ragte heraus. Er erwähnte, dass es einige aufregende Fortschritte in der Huntington-Forschung gab, die bereits stattfanden oder in der Pipeline waren. Er ging sogar so weit, darauf hinzuweisen, dass möglicherweise eine Behandlung geben wird sobald ich sie brauche. Ich dachte „für mich“? Ich bin doch schon in meinen 40ern. Könnte das wirklich wahr sein?

Meine ganze Sicht auf die Huntington-Krankheit hat sich geändert

Es war keine Zeit zu verlieren, ich musste mehr wissen. Nie mehr die Huntington Krankheit ignorieren. Ich fing an so viel wie möglich über die Krankheit und die aufregende Wissenschaft und Forschung rund um sie zu lesen und zu lernen. In dieser Zeit nahm ich an einer Bildungsveranstaltung der Huntington Society of Canada teil, wo sie über die neuesten klinischen Studien auf dem Laufenden gehalten haben. Bei dieser Gelegenheit lernte ich mehr über die Stummschaltung von Genen - genauer gesagt, die Studie mit ISIS-HTI Rx (jetzt als Genentech / Roche Huntingtinlowering Therapie RG6042 bekannt), die sich zu diesem Zeitpunkt in der klinischen Phase 1-Studie befand. Das war die erste Studie, die sich direkt auf die zugrunde liegende Ursache der Huntington-Krankheit konzentriert: das mutierte Huntingtin-Protein. Und es sollte an echte Menschen verabreicht werden. Keine Mäuse. Keine Affen. Menschen.

Der Hype und die Aufregung um diese Studie, die sich jetzt in Phase 3 befindet, waren spürbar und ist bis heute gewachsen. Zum ersten Mal seit ich die Ergebnisse meines Gentests erfahren habe, war ich voller Hoffnung. Ich habe realisiert, dass der Genetiker völlig aufrichtig war, als er sagte, es könnte rechtzeitig eine Behandlung für Huntington geben.

Meine Einstellung änderte sich aufgrund der Existenz dieser Gen-Silencing-Studie. Ich spürte einen echten Aufruf zum Handeln und begann mich mehr in Fundraising und meiner lokalen Huntington-

Krankheit-Gemeinschaft zu engagieren. Aber am wichtigsten war, dass ich gefühlt habe dass die Zukunft für mich nicht schon geschrieben war, mit nichts vor mir als einem schwarzen Tunnel. Nun gab es Licht am Ende des Tunnels.

Lassen Sie auch diese Wissenschaft Ihre Sichtweise ändern

Eine wirksame Behandlung zur Verzögerung des Auftretens der Huntington-Krankheitssymptome ist nahe liegend. Ob es sich um die Gen-Silencing-Methode oder eine andere Technik handelt, es wird kommen. Bald ist es soweit. Es wird eine Behandlung sein, die oral eingenommen werden kann (eine Pille), anstatt grob invasiver Behandlungen wie Lumbalpunktion.

Erlauben Sie sich, die HD-Nachrichten und -Updates zu verfolgen, denn es gibt eine Menge gute Nachrichten da draußen. Wenn Sie so sind wie ich, dann denken Sie über die Huntington-Krankheit nicht als ein automatisches Todesurteil, sondern werden bald erfahren, dass es das nicht ist.

Genschere neu kann Zellen massiv umprogrammieren

Von OÖN 16. August 2019

Dutzende bis Hunderte Gene gleichzeitig verändern

Weil jedoch viele Zell-Prozesse, aber auch beispielsweise Risiken für Krankheiten, auf dem Wechselspiel Dutzender verschiedener Gene beruhen, suchen Forscher nach Möglichkeiten, ein Upgrade für die Genschere zu entwickeln.

CRISPR gegen Schmerzen

02.09.2019 – [Antonio Regalado](#)



(Bild: Joshua Newton/Unsplash)

Eine natürliche DNA-Mutationen kann dafür sorgen, dass Menschen keinerlei Schmerz empfinden. Diese Beobachtung wollen sich Wissenschaftler jetzt für eine neuartige Gentherapie zunutze machen.

Der Straßenkünstler war gerade einmal zehn Jahre alt, und er konnte Messer durch seine Arme stechen und über glühende Kohle laufen. Mit 14 dann war er tot – jemand hatte ihn herausgefordert, von einem Dach zu springen, und weil er wusste, dass das nicht weh tun würde, machte er es. [Der Fall dieses pakistanischen Jungen mit einer seltenen genetischen Störung](#) wurde im Jahr 2006 beschrieben. Hitze und Kälte sowie die Textur von Objekten konnte er fühlen, aber keinen Schmerz empfinden.

<https://www.heise.de/tr/artikel/CRISPR-gegen-Schmerzen-4510574.html>
13. September 2019

Top-News für CRISPR Therapeutics – startet jetzt die nächste Gen-Schere-Welle?

"Der Aktionär" vom 16.04.19 von Michael Deopke

Erfreuliche Neuigkeiten für **CRISPR Therapeutics** und den Partner **Vertex Pharmaceuticals**: Die US-Gesundheitsbehörde FDA gewährt dem Projekt CTX001 gegen β -Thalassämie den sogenannten "Fast-Track"-Status. Dabei handelt es sich um einen Prozess, der die Entwicklung erleichtern und die Überprüfung von Medikamenten zur Behandlung schwerwiegender Erkrankungen mit erheblichem medizinischen Bedarf beschleunigen soll. Vorbörslich kann die Aktie von CRISPR Therapeutics vier Prozent zulegen.

Bei dem betroffenen Projekt handelt es sich um eine der beiden Studien, die das Schweizer Unternehmen in Kooperation mit Vertex in die klinische Phase überführt hat.

Our Pipeline

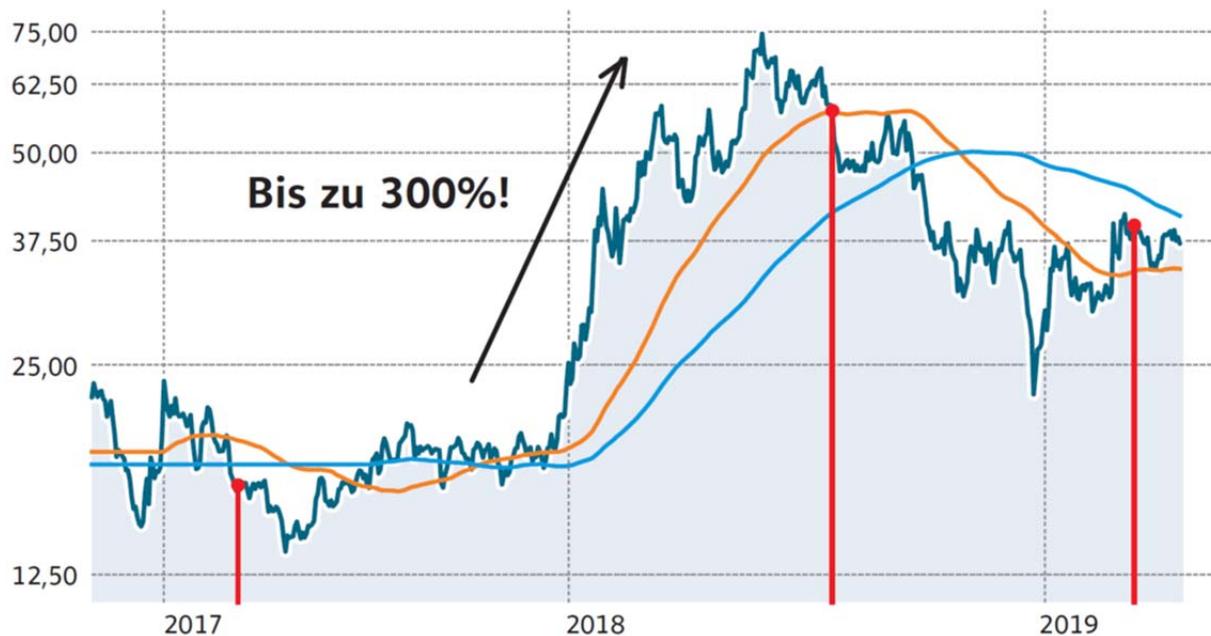


PROGRAM	RESEARCH	IND-ENABLING	CLINICAL	MARKETED	STATUS	PARTNER	STRUCTURE
Hemoglobinopathies							
CTX001™: β -thalassemia	█	█	█	█	Enrolling	VERTEX	Collaboration
CTX001™: Sickle cell disease (SCD)	█	█	█	█	Enrolling	VERTEX	Collaboration
Immuno-oncology							
CTX110™: Anti-CD19 allogeneic CAR-T	█	█	█	█	Initiate trial in 1H 2019		Wholly-owned
CTX120™: Anti-BCMA allogeneic CAR-T	█	█	█	█			Wholly-owned
CTX130™: Anti-CD70 allogeneic CAR-T	█	█	█	█			Wholly-owned
Regenerative medicine							
Type I diabetes mellitus	█	█	█	█		VIACYTE	Collaboration
In vivo and other genetic diseases							
Glycogen storage disease Ia (GSD Ia)	█	█	█	█			Wholly-owned
Duchenne muscular dystrophy (DMD)	█	█	█	█			Wholly-owned
Cystic fibrosis (CF)	█	█	█	█		VERTEX	License option
Hurler syndrome (MPS I)	█	█	█	█			Wholly-owned

Quelle: CRISPR Therapeutics

Die Phase-1/2-Studie wurde erst im Februar gestartet. Den gleichen Status gewährte die FDA bereits dem anderen CTX001-Projekt in der Klinik gegen die Sichelzellerkrankung (SCD). Dies sind ganz klar positive Signale für CRISPR Therapeutics und Vertex.

CRISPR Therapeutics in US-Dollar



Steht die 2. Welle an?

Die CRISPR-Fantasie war Anfang 2018 ungebrochen, mutige AKTIONÄR-Leser konnten nach etwas Geduld knapp 200 Prozent Gewinn einstreichen (Erstempfehlung am 26. April 2017 bei 15,28 Euro, ausgestoppt bei 45,00 Euro Mitte 2018). Derweil hat DER AKTIONÄR vor wenigen Wochen erneut spekulativen Anlegern geraten, eine Langfrist-Position einzugehen. Ein Stopp bei 24,50 Euro ist jedoch Pflicht!

Goldgräberstimmung am Kendall Square

Deutlich offensiver klingen die Prognosen zu CRISPR/Cas und dessen heilenden Einsatz beim Menschen im kleinen Stadtteil Kendall Square in Cambridge, nahe Boston. Hier tummeln sich Dutzende von Biotech-Startups und die meisten von ihnen setzen ganz auf CRISPR/Cas.



Eingriff ins Erbgut - **"Genschere wird kommen - und bietet Chancen"**

In der Firma "Intellia Therapeutics" arbeitet Doktor Birgit Schultes daran, Immunzellen - sogenannte T-Zellen - mit CRISPR/Cas so zu verändern, dass sie Krebstumore attackieren können. Veränderte T-Zellen sind für viele Wissenschaftler augenblicklich der Schlüssel, Krebs zu bekämpfen, manche sagen: zu besiegen. "Das Besondere ist, dass man halt das etwas nun heilen kann, was früh überhaupt nicht möglich war. Man kann nun genau an der Ursache dieser Krankheit ansetzen und das ist im Grunde dann auch eine Therapie, die man nur einmal machen muss."

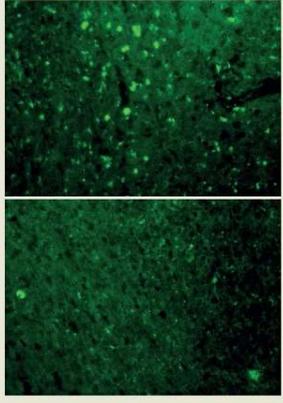
Diesen Traum hegt nicht nur die Wissenschaftlerin Schultes. Überall am Kendall Square arbeiten derzeit viele Dutzend Wissenschaftler mit Hochdruck daran, ihn Wirklichkeit werden zu lassen. In dem kleinen Viertel, nahe dem weltberühmten MIT, gibt es geradezu ein "Race to CRISPR" - eine Art Wettrennen, wer zuerst Gentherapien mit CRISPR/Cas auf den Markt bringen kann. Denn diese Therapien versprechen nicht nur wissenschaftlichen Ruhm, sondern auch zukünftige Milliardengewinne. Besonders, wenn es um die großen Volkskrankheiten Krebs, Herz-Kreislaufkrankungen oder etwa Alzheimer geht.

Vortrag von Herrn Prim. Univ. Dr. med. Hans-Christoph Duba
Institut für Medizinische Gentechnik
Zentrum Medizinische Genetik Linz
Titel: "Heilung der Chorea Huntington mit CRISPR/Cas9"
Vortrag wurde beim SH-Treffen am 24.11.2018 gehalten

CRISPR/cas9 Methode – Chorea Huntington

Kepler
Universitäts
Klinikum

CUTTING DOWN ON HUNTINGTIN
The mutant protein huntingtin (green fluorescence) is abundant in brain tissue gathered from a mouse model of Huntington's disease (top), but a CRISPR-based intervention that targets the gene encoding huntingtin greatly reduces production of the toxic protein (bottom).



[CRISPR takes on Huntington's disease.](#)
Eisenstein M.
Nature 2018 May;557(7707):S42-S43. doi: 10.1038/41586-018-05177-y. No abstract available.
PMID: 29944549

"I believe we can now seriously consider clinical strategies to edit huntingtin."

Aussage Dr. Beverly Davidson

24.11.2018 24

Ich glaube, wir können nun erstmals darüber nachdenken, mit klinischen Strategien das Huntingtin zu beeinflussen.

CRISP/cas9 Methode – Chorea Huntington



Dr. Beverly Davidson
Neuroscientist
Philadelphia

**but with further advances in delivery, I could envision
doing clinical testing within five years (?2023?).
I don't think it's particularly far off.**

**Aber mit weiteren Fortschritten kann ich mir vorstellen, dass innerhalb von
5 Jahren klinische Tests beim Menschen begonnen werden können.**

Heilung der Chorea Huntington mit CRISPR/Cas9

Prim. Univ. Doz. Dr. med. Hans-Christoph Duba
Institut für Medizinische Genetik
Zentrum Medizinische Genetik Linz