



## **Treffen der Huntington Selbsthilfegruppe**

**Samstag, 23. November 2019 - 14:00 Uhr**

**Vortrag von Obmann Ing. Ernst Aigner**

**zum Thema**

**CRISPR / Cas9 - Die Genschere**

**Neue weiterführende Entwicklungen**

Spektrum.de

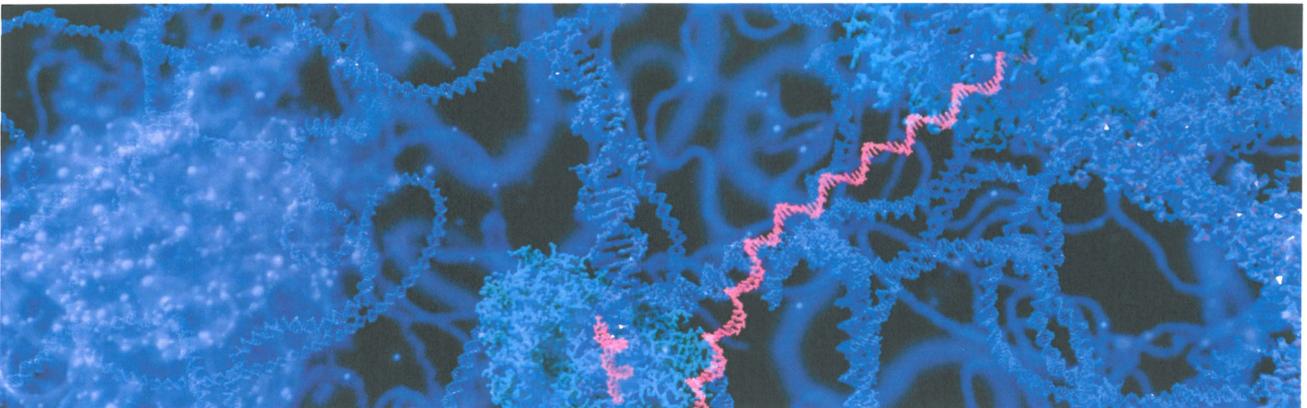
10.10.2019

ZELLBIOLOGIE

## Genschere ohne Schere kann noch mehr

Eine neue CRISPR-Variante spürt den kaum bekannten Wegen der dreidimensionalen Genregulation im Zellkern hinterher - und deckt vorerst einmal ein paar neue Mysterien auf.

von Jan Osterkamp



© SELVANEGRA / GETTY IMAGES / ISTOCK (AUSSCHNITT)

Wer sich nicht auskennt, erkennt im Erbgut unserer Zellkerne erst einmal kaum mehr als ein heillos verwickeltes Knäuel – kein Wunder, wickeln sich hier doch rund drei Meter lange Fäden aus DNA-Spagetti auf kleinstem Raum. Trotzdem müssen die Gene dabei natürlich ständig arbeitsfähig bleiben und abgelesen werden können, und so ist das scheinbar chaotische Genomknäuel in Wirklichkeit hoch organisiert. Hinter die Geheimnisse der Chromosomenordnung kommen Forscher allerdings erst langsam – vor allem fällt es schwer, dabei alle drei Dimensionen zu berücksichtigen, in denen das in der lebenden Zelle stets aktiv und dynamisch verpackte und entpackte Erbgut sich bewegen kann. Helfen beim Verständnis könnte in Zukunft eine angepasste Variante des neuesten

Lieblingswerkzeugs aller Molekularbiologen: CRISPR-GO, ein Werkzeug, dessen Einsatzmöglichkeiten nun ein Team von Biotechnologen im Fachblatt »Cell« vorstellt.

Die Genschere ist in ihrer Version »GO« (kurz für englisch »genome organization«) darauf optimiert, bestimmte DNA-Molekülabschnitte räumlich von einem Teil des Zellkerns in einen anderen umzusiedeln, beschreiben die Forscher. Solche Ortswechsel verändern – ohne dass an den Genen oder ihren Aktivierungssequenzen selbst etwas umgeschrieben wird – die Ablesehäufigkeit gelegentlich deutlich. Forscher vermuten seit einiger Zeit, dass der Zellkern solche räumlichen Verlagerungen von Erbgutabschnitten zur Regulierung der Genaktivitäten nutzt. Mit CRISPR-GO haben Haifeng Wang von der Stanford University und Kollegen dies nun exemplarisch an einigen Chromosomenabschnitten durchexerziert und diese durch die räumliche Veränderung der Struktur erfolgreich kontrolliert umprogrammieren können.

Dem eingesetzten Werkzeug CRISPR-GO haben die Forscher zu diesem Zweck zunächst die Genscheren-Funktion abtrainiert: Es nutzt vor allem die Fähigkeit, bestimmte DNA-Abschnitte durch die von den CRISPR-Leitsequenzen vorgegebenen Genabschnitte gezielt anzusteuern und sich dort festzuhaken. Am Enzym hängt zudem eine Art Anker, der durch einen Schalter – das pflanzliche Hormon Abscisinsäure – aktiviert werden kann. Am Anker befinden sich bestimmte Proteine, die vorgeben, an welche Stelle die angebundene DNA-Schleife gezogen wird: Sie binden an andere Proteine, die nur in den angesteuerten Regionen im Zellkern zu finden sind. Für ihre Versuche steuerten die Forscher so etwa die Telomere, also die Endkappen der Chromosomen, gezielt in bestimmte »Cajal-Körper«. Diese Körperchen sind deutlich umrissene, nicht aber von einer Membran abgetrennte Unterbereiche im Zellkern, über deren Funktion bis dato wenig bekannt ist: Sie enthalten Massen an kurzen snRNA-Abschnitten, die am Umbau anderer RNA-Moleküle sowie der RNA-Komponenten von DNA-Verpackungsproteinen, den Histonen,

beteiligt sind – und so womöglich die Aktivität von Genen regulieren helfen. Zudem haben Cajal-Körperchen offenbar mit Wartungsarbeiten an den Telomeren zu tun.

Letzteres bestätigte sich nun in den CRISPR-GO-Versuchen: Wenn die Forscher Telomere aus einem Bereich der Zelle zogen, so verlangsamte die gesamte Zelle anschließend ihr Wachstum deutlich; verlagerten sie die Telomere stattdessen in bestimmte Cajal-Körperchen, trat die Zelle insgesamt aufs Gaspedal. Die Telomere der Chromosomen werden seit Längerem mit Altern, der Lebenserwartung und Krankheiten wie Krebs in Zusammenhang gebracht – und ihre räumliche Position im Zellkern ist dabei offenbar mitentscheidend, konstatieren die Forscher. Auch die Aktivität anderer Gene veränderte sich in ihren Experimenten je nach Adresse des CRISPR-GO-Ankers – etwa wenn Genbereiche in abgegrenzte Zellkernregionen transportiert werden wie die Zellkernkörper der Promyelozytischen Leukämie, in denen ebenfalls ganz bestimmte Regulationsprozesse verstärkt ablaufen. Alle diese Prozesse – und vor allem die dahinterstehenden Steuermechanismen – sind noch weitgehend unverstanden. Mit Werkzeugen wie CRISPR-GO können sie in Zukunft aber besser erforscht werden, hoffen die Forscher.

**Jan Osterkamp**

Jan Osterkamp ist Redakteur bei »Spektrum.de«.

Ein neues Zeitalter in der Forschung zu Gentechnologie bricht an

Aus Wissenschaftsmagazin vom 26.10.2019.

Kultur > Wissen >

Gesundheit durch CRISPR?

## «Es wird schwer, Nein zu sagen, wenn man weiss, wie es geht»

Ein russischer Forscher will gehörlosen Paaren hörende Kinder ermöglichen. Zu unsicher sei die Technik, so die Gegner.

Katrin Zöfel  
Gestern, 16:36 Uhr

9

Diesen Artikel als erste Person teilen.

Es ist knapp ein Jahr her: Der chinesische Forscher He Jiankui gab in Hongkong bekannt, dass zwei Babys mit verändertem Genom auf die Welt gekommen waren. He sagte, sie seien nun resistent gegen HIV.

Der Aufschrei war riesig. Das einhellige Urteil der Forscherwelt: Zu früh, unverantwortlich und viel zu gefährlich. Die verwendete Technik – die Genschere CRISPR-Cas – sei noch viel zu neu und zu wenig verstanden.

### So funktioniert die «Gen-Schere»

### Das grosse Versprechen

Inzwischen ist aber klar, dass mindestens ein Forscher Ähnliches vorhat wie He. Denis Rebrikov aus Russland sucht im Moment gehörlose Paare mit Kinderwunsch und verspricht ihnen, dass sie mit seiner Hilfe hörende Kinder bekommen können.



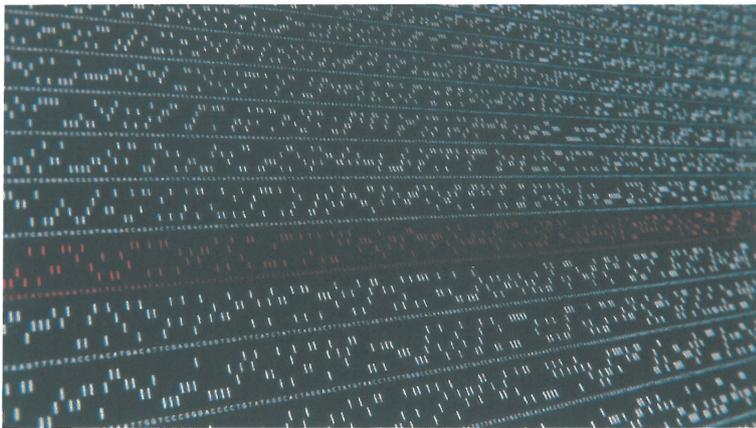
"Human Nature"

## Crispr verstehen, bevor es zu spät ist

Ein Dokumentarfilm handelt vom neuen Lieblingstool der Gentechniker: Crispr. Nerdig? Schon. Aber jeder sollte "Human Nature" sehen. Es geht um die Zukunft der Menschheit.

Eine Rezension von **Alina Schadwinkel**

7. November 2019, 16:04 Uhr / [41 Kommentare](#)



So sieht es aus, wenn Forscherinnen und Forscher das Erbgut eines Organismus analysieren. Jeder Strich steht für eine der vier Basen, aus denen die DNA aufgebaut ist: A, C, T oder G. © Human Nature

Dieser Film ist nicht besonders schön gedreht, beeindruckt weder mit prunkvollen Kostümen, noch mit oscarreifer Besetzung. Stattdessen kommt *Human Nature* im Aufbau einer wissenschaftlichen Abhandlung gleich: Einleitung, Forschungsstand, Diskussion – reizvoll klingt anders. Doch jeder sollte diesen Dokumentarfilm, der die Geschichte des Genwerkzeugs Crispr/Cas9 [<https://www.zeit.de/thema/crispr>] erzählt, anschauen. Warum? Weil Forscher mit diesem Werkzeug, so winzig es ist, Wunder vollbringen oder die Menschheit in die Katastrophe stürzen können. Fesselnder geht es nicht.

"Oft bemerkt man erst hinterher, dass gerade eine Revolution stattgefunden hat", beschreibt es die Bioethikerin Alta Charo in einer Szene. Recht hat sie. Denn wie der Film deutlich macht: Mit Crispr steckt die Menschheit bereits mittendrin.

CRISPR

## Der Mensch erschafft sich neu

Crispr

### "Was ist besser: eine Therapie oder gesunde Babys zu machen?"

[<https://www.zeit.de/wissen/gesundheit/2019-08/crispr-cas9-denis-rebrikov-genforscher-dna-taubheit>]

Gentechnik

### Crispr-Entdecker fordern weltweiten Stopp von Embryonenversuchen

[<https://www.zeit.de/wissen/gesundheit/2019-03/crispr-genschere-gentechnik-keimbahn-menschenversuch>]

Emmanuelle Charpentier

### "Dieses Urteil wird Crispr nicht aufhalten"

[<https://www.zeit.de/wissen/gesundheit/2018-07/emmanuelle-charpentier-crispr-genschere-gentechnik-eugh-urteil-genetik>]

Bakterien schützen sich mit dem System vor Virenattacken. Vor einigen Jahren haben Forscher die Methode abgesehen und andere Organismen damit bearbeitet. Mit ihr lässt sich Erbgut ausschneiden, verändern und wieder einbauen. So schnell, präzise und sicher wie nie zuvor. Und egal, ob es um die DNA von Pflanzen, Tieren oder Menschen geht. Weil man es plötzlich konnte, wurden Farben von Schmetterlingsflügeln auf Wunsch angepasst, Malariamücken genetisch verändert, gar die Gene in den Embryonen chinesischer Zwillinge

[<https://www.zeit.de/wissen/2018-11/crispr-china-geburt-zwillinge-erbanlage-genveraenderung-hiv-resistenz>] so modifiziert, dass die Kinder gegen HIV immun sein sollen – was zu weltweiter Empörung führte

[<https://www.zeit.de/wissen/gesundheit/2018-11/emmanuelle-charpentier-crispr-babys-china-genschere-entsetzt>] und manche dennoch nicht abhält, weiter an "gesunden Babys" zu arbeiten

[<https://www.zeit.de/wissen/gesundheit/2019-08/crispr-cas9-denis-rebrikov-genforscher-dna-taubheit>]. Längst gibt es Firmen, die mit Crispr ungeachtet der ungeklärten ethischen Fragen Geld verdienen. Weil Science-Fiction gerade Realität wird, fehlt es dem Film nicht an Referenzen zu *Star Trek* und *Jurassic Park*, *GATTACA* und *Blade Runner*.

### Nie gab es eine bessere Chance, um die Crispr-Begeisterung zu verstehen

Die Entdeckung von Crispr hat die Welt über Nacht verändert. Um sie zu würdigen, gibt der Regisseur Adam Bolt der Geschichte und allen Beteiligten entsprechend viel Zeit. Von den sechs Kapiteln, in die der Film

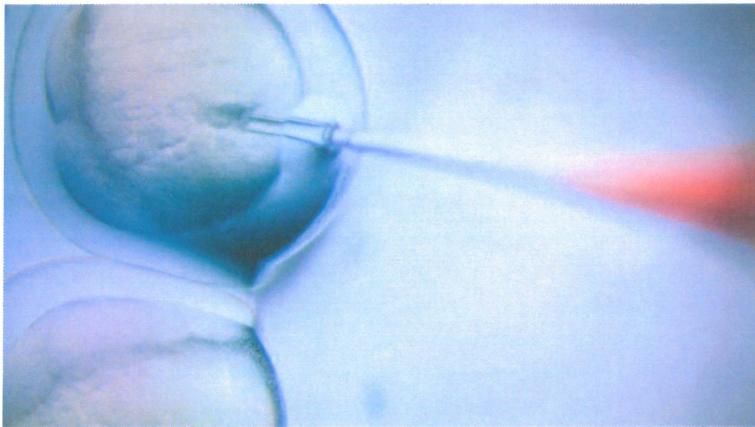
eingeteilt ist, handeln drei davon, mit welchen Problemen Gentechniker in den vergangenen Jahrzehnten zu kämpfen hatten, weil "die Technologie einfach zu plump war, um sie bei Menschen einzusetzen". Wie man dann zufällig das System erst entdeckte – "etwas Ungewöhnliches ist immer interessant" – anschließend verstand und Forscherinnen und Forscher daraufhin weltweit in einen Experimentierrausch verfielen, weil sie plötzlich das "Schweizer Taschenmesser der Gentechnik" in Händen hielten.

Crispr-Methode

## Verbesserte Genschere könnte fast alle Erbkrankheiten korrigieren

Defekte DNA ersetzen oder löschen: Ein Forscherteam hat eine risikoärmere Variante des Crispr-Prinzips entwickelt. Grundlagenforschung, die zeigt, was bald machbar wird.

21. Oktober 2019, 17:21 Uhr / Quelle: ZEIT ONLINE, dal / [125 Kommentare](#)



Ein Schritt des Crispr/Cas9-Verfahrens ist in einem Labor am Max-Delbrück-Centrum für Molekulare Medizin in vielfacher Vergrößerung auf einem Monitor zu sehen. © Gregor Fischer/dpa

Erbkrankheiten zu heilen, indem man defekte Gene aus dem Erbgut schneidet und durch gesunde ersetzt: Das ist das Prinzip der Genomeditierung, die dank der Genschere Crispr [<https://www.zeit.de/thema/crispr>] möglich geworden ist. Ein Team vom Broad Institute im US-amerikanischen Cambridge berichtet nun im Magazin *Nature* (Anzalone et al., 2019 [<https://www.nature.com/articles/s41586-019-1711-4>]) von einer Weiterentwicklung der Methode. Die könnte eines Tages ermöglichen, bis zu 89 Prozent aller bekannten menschlichen Erbkrankheiten zu korrigieren.

Bisher sind derartige Genveränderungen an Menschen aus ethischen Gründen weder für Studien noch als Therapie wegen möglicher Nebenwirkungen zugelassen. In der aktuellen Studie geht es daher um Grundlagenforschung, aber auch um neue

 Anmelden

Menü | Politik Meinung Wirtschaft Panorama Sport Kultur Netzwelt Wissenschaft mehr

## WISSENSCHAFT

Schlagzeilen | DAX 13.228,56 | Abo

Nachrichten Wissenschaft Medizin Erbkrankheiten

THEMA **Erbkrankheiten**

Alle Artikel und Hintergründe

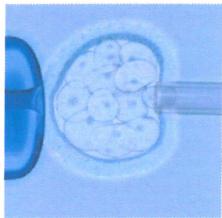


Matthias Schmiedel/ DER SPIEGEL

**Seltene Erbkrankheit Sichelzellenanämie: Wie zwei Frauen einen Arzt fanden, der sie von ihrem entsetzlichen Leiden befreite**

SPIEGEL ONLINE - 05.03.2019

Cigdem Sabahoglu und ihre Schwester Hasret litten an einer seltenen Erbkrankheit, die wichtige Organe schädigt - und um die sich kaum ein Forscher kümmert. Bis sie einen Mediziner aus Regensburg trafen. *Von Julia Koch mehr...*

**Bei schwerwiegenden Erbkrankheiten: Spahn will Krankenkassen für Gentests an Embryos bezahlen lassen**

SPIEGEL ONLINE - 15.01.2019

Haben Eltern eine gefährliche Erbkrankheit, können sie das Erbgut ungeborener Kinder untersuchen lassen. Bisher müssen sie die Kosten selbst tragen. Gesundheitsminister Spahn will das ändern - aber nur für Verheiratete. *mehr...*

**Software: Künstliche Intelligenz erkennt seltene Erbkrankheiten am Gesicht**

SPIEGEL ONLINE - 08.01.2019

Es gibt Hunderte seltene Erbkrankheiten, doch die meisten lassen sich nur schwer diagnostizieren. Nun haben Forscher ein Programm entwickelt, das Gendefekte mithilfe von Porträtfotos benennen soll. *mehr...*

**Eine rätselhafte Patientin: Schau ihr in die Augen**

SPIEGEL ONLINE - 07.10.2018

Eine 42-Jährige führt Selbstgespräche, irrt herum - und wird mit Psychopharmaka behandelt. Als sie ein starkes Zittern entwickelt, untersuchen Ärzte sie erneut. *mehr...*

**Schicksale: Der Befristete**

DER SPIEGEL - 01.09.2018

Der Maler Marc Jung weiß nicht, wie viel Zeit ihm noch bleibt für seine Kunst. Hat ihm sein Vater die tödliche Erbkrankheit Chorea Huntington weitergegeben? Das Risiko liegt bei 50 Prozent. Eine Bedrohung, die sich auch in seinen Bildern zeigt. *mehr...*



Foto: Reuters/Keyama

DREI-METER-RIESE

Auf der Spur des größten Affen aller Zeiten: Forscher klären den Ursprung von Gigantopithecus blacki.

Mehr auf [derStandard.at/Wissenschaft](http://derStandard.at/Wissenschaft)

GASTBEITRAG

1989

Wie das Ende des Eisernen Vorhangs zu völkischem Populismus führte. Seite 46

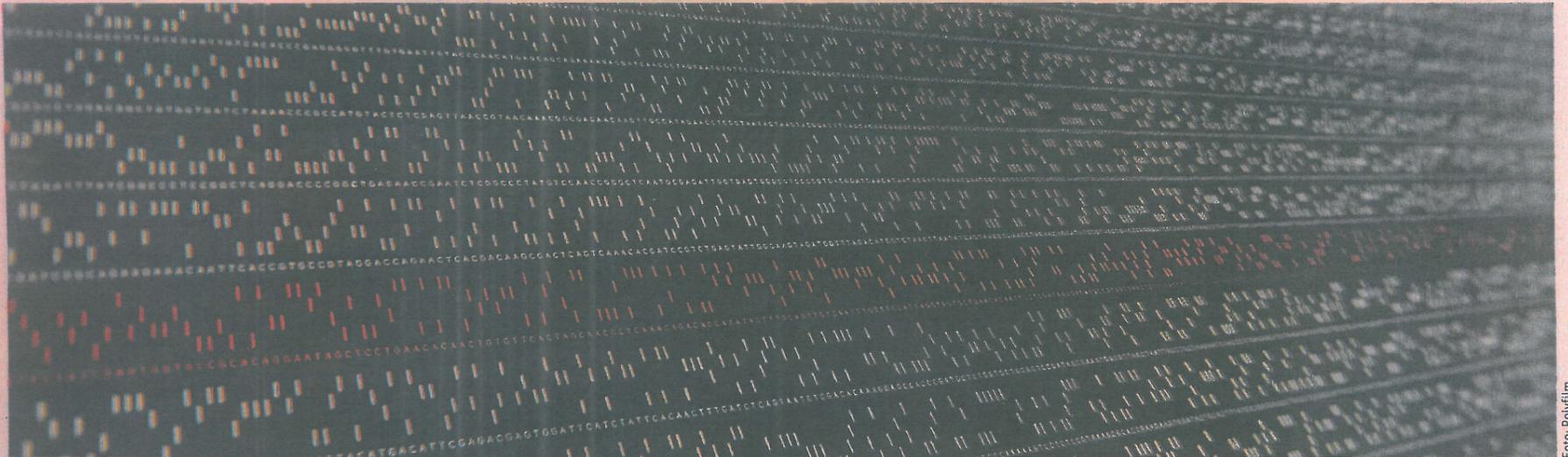


Foto: Polyfilm

Der genetische Code kann durch einen Austausch von Buchstaben verändert werden: CRISPR/Cas9 ist ein sehr einfaches Werkzeug für Wissenschaftler.

# CRISPR ist eben Hollywood

Die Gen-Schere CRISPR/Cas9 wurde nun auch Thema eines Dokumentarfilms, der das Laborwerkzeug gut erklärt. Assoziationen zum Kino geben der Erzählung allerdings zu viel Dramatik.

Peter Illetschko

Wer Wissenschaftler nach CRISPR/Cas9 fragt, erhält meist eine begeisterte, fast schwärmerische Antwort: Nie zuvor sei Genome-Editing so effizient gewesen wie mit der Gen-Schere. Vereinfacht gesagt handelt es sich um einen Proteinkomplex, mit dem man Abschnitte des Erbguts durchtrennen, entfernen und ersetzen kann. Schon werden medizinische Anwendungen für die Behandlung von Erbkrankheiten in Aussicht gestellt. Pflanzen können theoretisch mit CRISPR/Cas9 resistenter gegenüber Umwelteinflüssen werden.

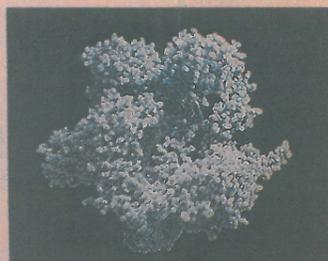
Selbst die zurückhaltendsten Mikrobiologen und Genetiker sprechen von einer wissenschaftlichen Revolution, denn sie kann die Gesellschaft positiv, aber auch negativ beeinflussen. Der chinesische Wissenschaftler He Jiankui, der im vergangenen Jahr stolz behauptete, zwei Zwillinge im emb-

ryonalen Zustand mit CRISPR immun gegen das HI-Virus gemacht zu haben, ist noch in Erinnerung.

Die Faktenlage bietet jedenfalls genug Material für einen eineinhalbstündigen Film über die Gen-Schere, wie er nun in den Kinos angelaufen ist: die kanadische Dokumentation *Human Nature* von Adam Bolt. Es wurde ein Film über die Bausteine des Lebens. Und er ist für Menschen, die sich mit der Gen-Schere noch nie befasst haben, grundsätzlich ein idealer Einstieg in die Materie.

Die Komplexität des CRISPR/Cas9-Systems in Bildern zu erklären darf ruhig als schwierig betrachtet werden. Allein die Beschreibung des Mechanismus könnte Bände füllen – und wäre zu viel für Laien. Wenn ein Filmregisseur aber allzu viel Inhalt weglässt, um Zuschauer nicht zu überfordern, setzt er sich dem Vorwurf der Oberflächlichkeit

aus. Angesichts dieser Herausforderung ist Regisseur Adam Bolt einen Mittelweg gegangen – mit zahlreichen Interviews, animierten Sequenzen, die zeigen, was bei CRISPR/Cas9 im Detail passiert, und medizinischen Fallbeispielen, die vielleicht irgendwann einmal mit der Gen-Schere behandelt werden könnten. Mit den Patentstreitigkeiten zwischen den Erfin-



Der Proteinkomplex ermöglicht Manipulationen am Erbgut.

Foto: Polyfilm

derinnen, der amerikanischen Strukturbiologin Jennifer Doudna und der französischen Mikrobiologin Emmanuelle Charpentier, und dem chinesisch-amerikanischen Neurowissenschaftler Feng Zhang hielt er sich gar nicht auf. Stattdessen interviewte er Wissenschaftler wie Stephen Hsu, die sagen, was man mit CRISPR/Cas9 wirklich machen kann: alle Veränderungen an einem Embryo vornehmen, die man sich wünscht.

Bolt wirkt im Erzählstil nicht belehrend, fragt aber natürlich nach. Er zeigt ein Filmdokument aus der Nazizeit, das zeigt, welche Haltung man damals zu „lebenswertem“ Leben hatte. Jennifer Doudna berichtet von einem Alptraum, in dem sich Adolf Hitler an der Technologie interessiert zeigt. Das mag für manche Zuschauer allzu dramatisierend wirken, wenn sich doch Wissenschaftler weltweit gegen eine Anwendung

in der Keimbahn aussprachen und Gesetze geschaffen wurden, um das zu verhindern. Aber zeigt nicht gerade das Beispiel He Jiankui, dass der Fantasie im Umgang mit der Gen-Schere kaum Grenzen gesetzt sind?

CRISPR/Cas9 ist Hollywood, sagte einmal ein Wissenschaftler euphorisch über die Möglichkeiten des Werkzeugs. Bolt sieht das offenbar ähnlich – und übertreibt bei einigen bildhaften Sequenzen die Assoziationen zu Blockbustern. Szenen aus *Star Trek* oder *Blade Runner* sind zu sehen. Wenn Harvard-Professor George Church von der theoretischen Möglichkeit erzählt, die ausgestorbenen Mammuts mit CRISPR/Cas9 wiederauferstehen zu lassen, mag das Kinofreunde an *Jurassic Park* erinnern, aber von einem Schreckensszenario ist ein Forscher wie Church doch sehr weit entfernt. Derzeit im Kino

GÜNTER TRAXLER

## Diese dummen Staatsanwälte!

Das derzeit in Österreich vielen Menschen bitteres Unrecht geschieht, erfährt man am besten aus „Österreich“. Ein besonders grausamer Fall von Sippenhaftung wurde dort neulich unter dem Titel *Philipas Bruder schmeißt Job in Sport-Institut hin* allen gemeldet, die es in „Profil“ überlesen haben. Nach nur einem Jahr verlässt Christopher Beck, der Bruder von Philipa Strache, das Institut Leistungs-sport Austria. Zwei Kabinettsmit-arbeiter von Heinz-Christian Strache hatten ihn dort bei Arbeitsantritt den neuen Kollegen vorgestellt. Nach Straches Karriere-Aus sollten ihm die Stunden reduziert werden. Dieses „Angebot“ lehnte er aber ab.

Was das für den österreichischen Sport bedeutet, ist ebenso wenig abzusehen wie der Abschied Hartmut Löggers für die österreichischen Finanzen. Nur ein Wolfgang Fellner war imstande, die ganze Tragik dieses Vorgangs sittlich angemessen zu beschreiben. Bei allem Engagement gegen Korruption, Postenschacher und

wohl über das Ziel hinausgeschossen: Dass ein Finanzminister als Eigentümervertreter der Casinos letztlich keine andere Möglichkeit hat, als einen zwischen VP und FP sowie den zerstrittenen Casinos-Eigentümern paktierten Polit-Deal durchzuziehen, ist ja wohl auch dem dümmsten Staatsanwalt klar. Oder soll er sich aufhängen?

Mal herhören, ihr dummen Staatsanwälte! Bei allem Engagement gegen Korruption, Postenschacher und Parteibuch-Sauereien kommt es gar nicht infrage, über das Ziel hinauszuschießen, das ein Wolfgang Fellner in Verfolgung seiner medienpolitischen Sauereien absteckt. Sauereien, die zu vollbringen er unter anderem in der Möglichkeit sieht, als Kolumnist zu wirken. Oder soll er sich aufhängen? Doch was würde dann aus der Qualitäts-

Mit einem Hinweis auf die Möglichkeit, sich aufzuhängen, war er bei dem von ihm gekürten Nachfolger Löggers bisher zurückhaltender. Besser noch, er bestätigt ihm: VP-Politiker ist multitaskingfähig – Blümel mit Ovid beim *Balancieren*. Dankbar apportierte „Österreich“ ein Selfie, welches Gernot Blümel auf Instagram gepostet hatte, und das ihn auf einem „Balance Board“ zeigt. Krimi liest er dabei keinen, stattdessen ein Werk des antiken römischen Dichters Ovid. Ovids erstes Werk, die *Liebesgedichte Amores*, war in der Antike ja ein richtiger Gassenhauer. Aus dem Foto geht zwar weder Autor hervor noch Werk, Hauptsache, das *Balance Board* war glaubwürdig. Schließlich

Höchstes Unrecht droht, und Andreas Mölzer beschwor es neulich in seinem Blatt „Zur Zeit“, den Burschis. Die nächste *Verbotswelle* – vermutlich nach dem Rauchverbot – wird alle nationalfreiheitlichen Korporationen treffen, ahnt er und fordert: *Burschen heraus, es ist höchste*



BLATTSALAT

Zeit! Um sie herauszulocken aus den Buden, wo sie im biedermeierlichen Wohlbefinden weiter Alt-Heidelberg und „Bewahrer des Deutschtums“ spielen, statt sich gegen Diffamierung zur

Wehr zu setzen, legt er ein Positionspapier vor, das die Öffentlichkeit endgültig von der Harmlosigkeit ihres Treibens überzeugen soll.

Dagegen ist natürlich nichts

ismus und Antisemitismus dort, wo es Restbestände von Teilen jenes Ungeistes gab oder möglicherweise sogar noch gibt, diese zu benennen, sich davon zu distanzieren und für alle Zukunft zu unterbinden.

Jetzt keine Angst, bei dem Positionspapier handelt es sich nur um einen Vorschlag, keine verbindliche Richtlinie. Man darf den Burschen nicht überfordern, sonst wird er zum Einzelfall. Daher zum Ausgleich gleich dahinter Restbestände wie diese: George Soros kann es nicht lassen. Der Spekulant – der von der „New York Times“ ehrfurchtsvoll als „Philanthrop“ bezeichnet wird, mischt sich in die anstehenden Vorwahlen der US-Demokraten ein.

Doch es gilt nicht nur, solche Art Reste von Antisemitismus zu unterbinden. Zu guter Letzt darf Walter Seledec das Hohelied auf den Erfolg der AfD in Thüringen anstimmen. Sie möge sich im Übrigen auf die „deutschen Tugenden“ (diese Anführungszeichen!) besinnen und ohne die „Siegermächte“ politisch agieren. So wird

## Wohin führt die CRISPR-Revolution?

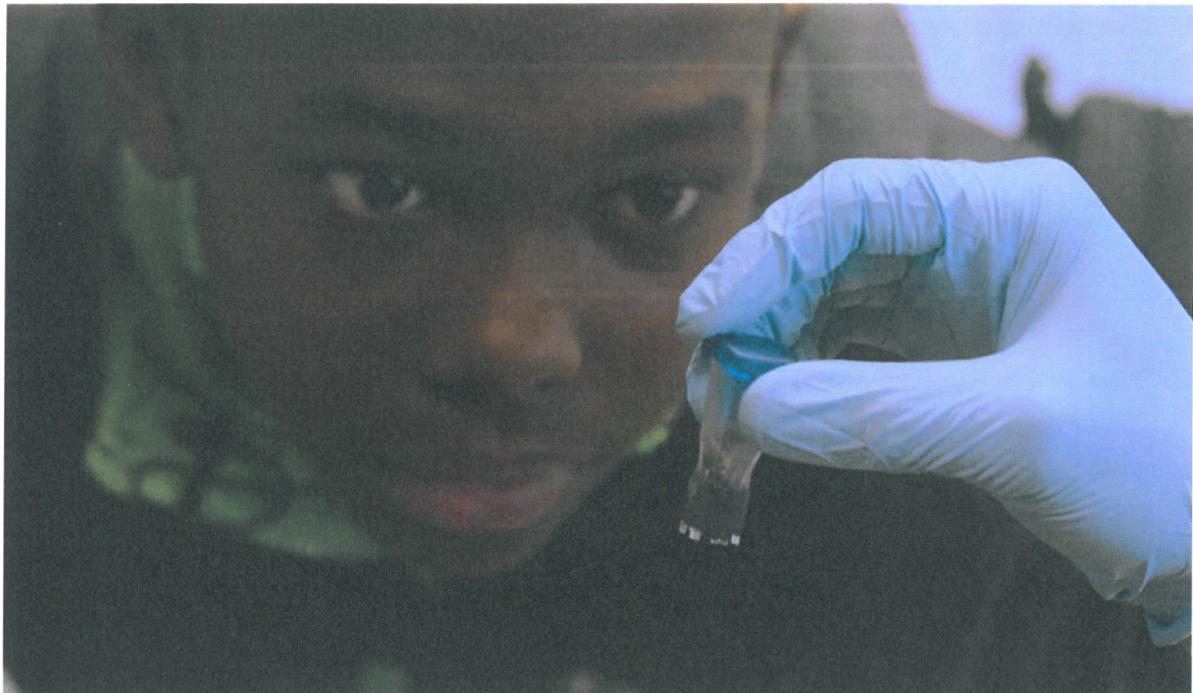
CRISPR/Cas, die „Genschere“, hat eine wissenschaftliche Revolution ausgelöst. Dank ihr können Abschnitte der DNA gezielt durch andere Sequenzen ersetzt werden, bei Pflanze, Tier und Mensch. Ein Dokumentarfilm fragt jetzt, wohin diese Revolution führen wird.

Die Sichelzellenanämie ist eine monogenetische Erkrankung. Die Mutation eines einzigen Gens sorgt dafür, dass Blutkörperchen nicht rund, sondern sichelförmig sind. Das führt zu Blutarmut, mitunter zu einer schlechten Sauerstoffversorgung der Organe. Die Lebenserwartung liegt im Durchschnitt bei 40 Jahren. Könnte die „Genschere“ CRISPR dazu führen, dass Menschen eine Sichelzellenanämie wieder loswerden oder Kinder gar nicht damit geboren werden? Diese Frage stellt der Regisseur Adam Bolt an den Beginn seines Dokumentarfilms „**Human Nature. Die CRISPR Revolution**“

<https://www.imdb.com/title/tt9612680/> , der am 15. November in die österreichischen Kinos kommt.

### Genchirurgie aus der Natur

Dass die Sichelzellenanämie in „Human Nature“ eine größere Rolle spielt, liegt an einem der Protagonisten des Films. Der zwölfjährige David leidet an der Erkrankung. Eine Therapie mit der Genschere könnte ihm vielleicht helfen, dieses eine mutierte Gen in seiner DNA zu reparieren. Bevor das Publikum erfährt, ob das schon bald der Fall sein könnte, rollt Bolt die Geschichte der Gentechnologie CRISPR/Cas auf und lässt viele der beteiligten Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler zu Wort kommen.



Foto/Grafik: Polyfilm

Ein Bild aus „Human Nature“

Dieses Prinzip der „Genchirurgie“ stammt aus der Natur: Der spanischen Molekularbiologe **Francisco Mojica**

<https://imem.ua.es/en/about-us/francisco-juan-martinez-mojica.html> beobachtete CRISPR bei Bakterien und gab der Genschere ihren Namen: CRISPR für Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats. Dringt ein Virus in den Mikroorganismus ein, wird ein Teil der eigenen DNA gegen jene des Virus getauscht. Kehrt der Eindringling zurück, erkennt das Protein Cas 9 das fremde Erbgut, schneidet es durch und macht es dadurch unschädlich.

### Schweizermesser der Gentechnik

Man entdeckte, dass Crispr so etwas wie das Immunsystem von Bakterien ist. Absurderweise dürften die Mitarbeiter einer Joghurtfirma die ersten gewesen sein, die ohne es zu wissen, mit CRISPR arbeiteten, um Milchsäurebakterienkulturen haltbarer zu machen. Doch die Molekularbiologie hat sich die Methode abgeschaut und weiterentwickelt.

Die Herausforderung war also, eine Technik zu finden, die die DNA am gewünschten Platz durchtrennt und die Gensequenz gezielt verändert, erzählt die Molekularbiologin **Jennifer Doudna** <http://doudnalab.org/9> , die CRISPR gemeinsam mit **Emmanuelle Charpentier** <https://www.emmanuelle->

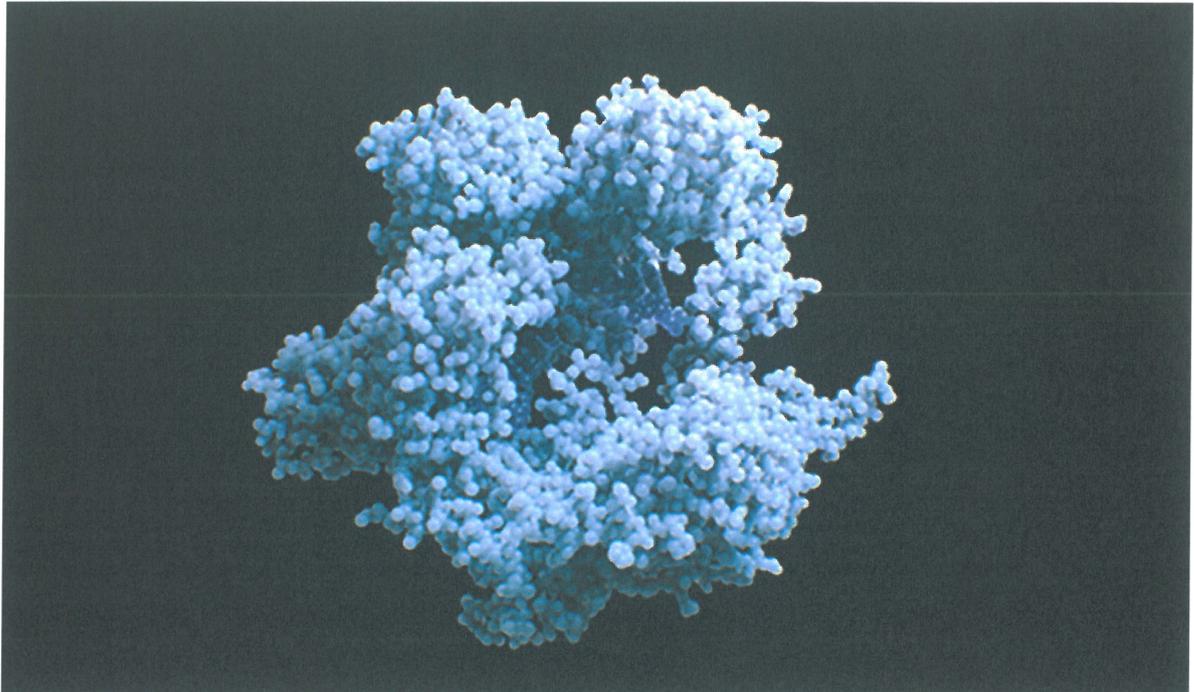
#### Ö1-Sendungshinweis

Über das Thema berichtete auch das **Journal um acht**

<https://ce1.orf.at/player/20191115/579087/081335>  
15.11., 8:00 Uhr.



[charpentier-lab.org/our-team/emmanuelle-charpentier/](http://charpentier-lab.org/our-team/emmanuelle-charpentier/)> zur Genschere machte: mit Hilfe des Proteins Cas 9.



Foto/Grafik: Polyfilm

Mit ihrer **Publikation** <http://genetics.wustl.edu/bio5491/files/2013/03/Jinek-et.-al.-2012.pdf>> lösten die beiden Wissenschaftlerinnen 2012 die CRISPR-Revolution aus und werden seitdem für den Nobelpreis gehandelt. Das Protein Cas 9 kann, mit der richtigen Information ausgestattet, eine ganz bestimmte Gensequenz ansteuern, ausschneiden und durch eine andere Abfolge der organischen Basen Adenin (A), Guanin (G), Cytosin (C) und Thymin (T) ersetzen. So können mutierte Gene repariert oder gesunde Gene durch andere, erwünschte Basenfolgen ersetzt werden. Ein universelles Werkzeug sei das, sagt Emmanuelle Charpentier in dem Film, oft als Schweizermesser der Gentechnik beschrieben.

### Lebensretter oder Ende der Natur?

Adam Bolt erklärt in der Dokumentation „Human Nature“ nicht nur, wie dieses Schweizer Taschenmesser der Gentechnik funktioniert und wie es entstanden ist. Die zweite Hälfte des Films diskutiert potenzielle Anwendungsmöglichkeiten und zeigt die Chancen und Risiken der Genschere auf: Die reichen von einer Heilung der Sichelzellenanämie bis hin zu Designerbabys, deren Größe, Augenfarbe und Intelligenzquotient vorbestellt werden kann.

Einen Vorgeschmack darauf, gab es bereits. Vor einem Jahr gab ein chinesischer Forscher die Geburt von CRISPR-Zwillingen bekannt (science.ORF.at **berichtete** <https://science.orf.at/stories/2986736/>> ): Das Erbgut der Embryonen wurde so verändert, dass die Kinder gegen HIV immun wären. He Jiankui, der verantwortliche Molekularbiologe, kündigte bereits an, weiter an „gesunden“ Babys arbeiten zu wollen.

Einiges in „Human Nature“ mutet Science-Fiction-haft an, manches ist beängstigend. Ein Urteil, ob diese Entwicklung nun positiv ist oder die Menschheit bedroht, liefert „Human Nature“ dennoch nicht. Der Film will vielmehr eine Debatte über eine neue Technologie anstoßen: Alles sollen mitdiskutieren können, bevor die Genschere CRISPR/Cas die menschliche Evolution vielleicht für immer verändert.

Marlene Nowotny, Ö1 Wissenschaft

### Mehr zu dem Thema:

- **Forscher machen Genschere effizienter** <https://science.orf.at/stories/2989927/>>
- **Genschere wird zum Genwerkzeugkasten** <https://science.orf.at/stories/2993281/>>
- **Forscher fordern Änderung zu Genom-Editing** <https://science.orf.at/stories/2988986/>>

Publiziert am 14.11.2019



WISSEN

21.11.2019

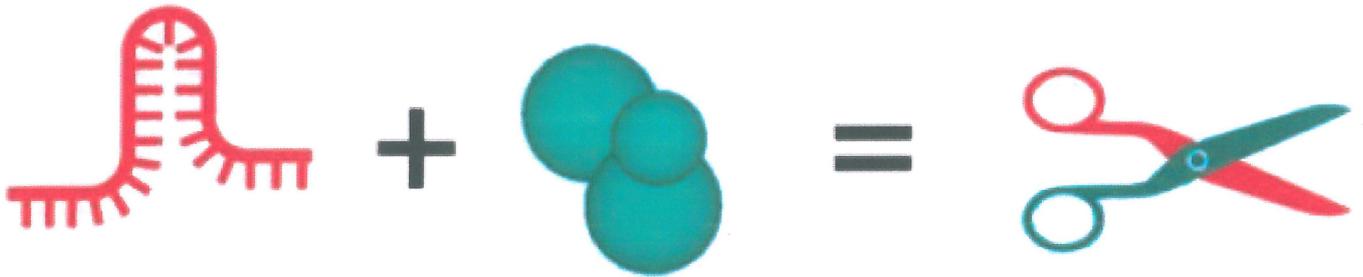
## Meilenstein der Medizin: CRISPR-Gen-Schere heilt erstmals Patientin

**In Regensburg hat eine Gentherapie gegen die angeborene Bluterkrankung Beta-Thalassämie erste Erfolge gezeigt.**

Eine 20-jährige Patientin sei mit Hilfe der Gen-Schere Crispr/Cas9 therapiert worden und weise seit neun Monaten "normale Blutwerte" auf, teilte das Universitätsklinikum Regensburg mit. Zuvor war sie auf regelmäßige Bluttransfusionen angewiesen.

"Für Patienten, denen keine kurative Alternative angeboten werden kann, würde diese Therapieform die Heilung von einer schrecklichen Krankheit bedeuten", sagte Selim Corbacioglu, Leiter der Abteilung für Pädiatrische Hämatologie, Onkologie und Stammzelltransplantation am Universitätsklinikum Regensburg.

## DIE GEN-SCHERE CRISPR/CAS9



**CRISPR** Bestimmte Abschnitte auf der DNA von Bakterien (Abwehrmechanismus gegen Viren)

**CAS9** Spezielles Enzym, das DNA aufschneiden kann

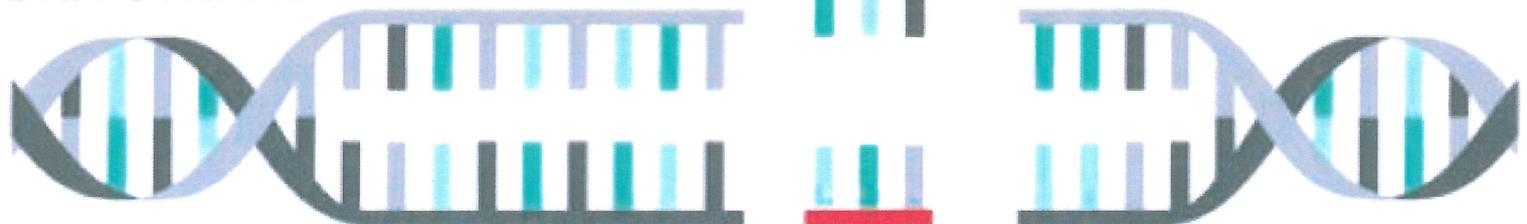
**CRISPR/CAS9-SYSTEM** „Gen-Schere“ für gezieltes Schneiden und Verändern von DNA, weiters nötig: Guide-RNA

**GEZIELTE VERÄNDERUNGEN AM ERBGUT** Mit dem CRISPR/Cas9-System können Gene ausgeschaltet, defekte durch korrekte DNA-Teile ersetzt oder neue Gensequenzen eingefügt werden.

Einfacher, schneller und billiger als bisher eingesetzte Verfahren

Guide-RNA führt CRISPR/Cas9 zur gewünschten Stelle der Ziel-DNA

**DNA-STRANG**



**DNA-Stück kann neu eingefügt oder entfernt werden**

## MÖGLICHE ANWENDUNGEN



**Gentherapie:** z. B. Blutstammzellen manipulieren, um Erkrankungen wie Sichelzellenanämie zu behandeln



**Gene-Drive:** Ganze Populationen, etwa der Malaria-Mücke, genetisch so modifizieren, dass sie unfruchtbar werden oder Erreger nicht mehr übertragen werden



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



**Grüne Gentechnik:** Gewünschte Eigenschaften werden in das Erbgut von Nutzpflanzen wie Mais eingeschleust

**KURIER** Grafik: APA, CT

Quelle: APA

So funktioniert die Gen-Schere. © Bild: Grafik,APA

### Bisher schwierige Behandlung

Patienten, die an einer an Beta-Thalassämie leiden, können bisher nur durch Stammzelltransplantation geheilt werden – wenn sich ein passender Spender findet. Findet sich kein Spender oder ist eine solche Transplantation aufgrund diverser Risikofaktoren nicht durchführbar, sind Betroffene auf regelmäßige Bluttransfusionen angewiesen, mit all ihren potentiell lebensverkürzenden Nebenwirkungen. Insbesondere die Eisenüberladung lebenswichtiger Organe wie Herz und Leber führen über kurz oder lang zu schweren Komplikationen und zum Tod.

Die Patientin, die am Universitätsklinikum Regensburg als erste in die CRISPR-Studie eingeschlossen werden konnte, hatte genau dieses Schicksal durchlaufen: Im Schnitt wurde

sie 16 Mal pro Jahr transfundiert. Vor neun Monaten wurden die Blutstammzellen der Patientin nun durch das CRISPR/Cas9-Verfahren genetisch verändert und tatsächlich, bis heute ist sie transfusionsfrei und weist aktuell normale Blutwerte auf.

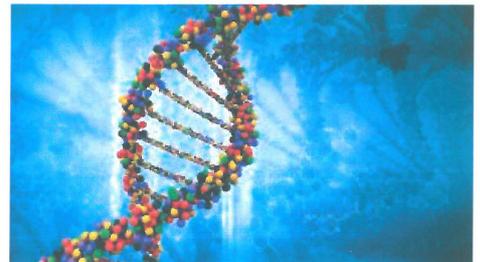
## Sechs Studienzentren weltweit

"Positiv zu bewerten ist, dass gezeigt wird, dass es prinzipiell mit dem Crispr/Cas9-Verfahren funktioniert", sagte Holger Cario von der Kinder-Hämatologie und -Onkologie am Universitätsklinikum Ulm. Der Erfolg sei jedoch stark davon abhängig, wie viel Hämoglobin gebildet wird und ob dieses ausreichend ist. Zudem sei die Gen-Schere Crispr/Cas kürzlich in den USA erfolgreich zur Therapie der Sichelzellerkrankung genutzt worden, berichtete die Uniklinik Regensburg.

Insgesamt sollen in den sechs Studienzentren weltweit (USA, Kanada, Europa) 45 Patienten mit Beta-Thalassämie aufgenommen werden, die über zwei Jahre nach Infusion engmaschig betreut und nachbeobachtet werden.

### WISSEN

#### Gen-Schere Crispr: Potenzial und ungelöste Probleme



### DESIGNER-BABY

#### Designer-Babys in China: Der letzte Tabubruch im Gen-Labor?



### GENE-DRIVE-METHODE

#### Österreichischer Forscher verbessert Gen-Schere

