

### Génszerkesztésért járt a kémiai Nobel-díj



A modern génszerkesztés két úttörője, *Emmanuelle Charpentier* francia mikrobiológus és *Jennifer Doudna* amerikai biokémikus kapja az idei kémiai Nobel-díjat a Svéd Királyi Tudományos Akadémia mai stockholmi bejelentése szerint.

Az indoklás szerint a két tudós a DNS célzott, rendkívül pontos szerkesztését lehetővé tévő CRISPR/Cas9 „genetikai olló” kifejlesztéséért részesül az elismerésben, amelyet előttük mindössze öt nő kapott meg. Emmanuelle Charpentier elmondta, nagyon érzelmesen reagált a Stockholmból érkező telefonhívásra. Gyakran mondogatták neki, hogy meg fogja kapni a díjat, mégis meglepte, amikor megtörtént. „Még hozzá kell szoknom” – jegyezte meg. Ez az első alkalom, hogy egy tudományos Nobel-díjon kizárólag nők osztoznak. „Remélem, hogy ennek pozitív üzenete van, különösen a tudományos pályára készülő lányok számára” – mondta. „Azt hiszem, bizonyítottuk, hogy női tudósok is kaphatnak díjakat. Fontosabb azonban, hogy a nőknek a kutatásaik által befolyásuk legyen a tudományban” – fűzte hozzá.

Jennifer Doudnát „teljesen sokkolta” a Nobel-díj híre. „Egy kis helyen nőttem fel Hawaiiin, és soha nem gondoltam volna, hogy ez meg fog történni” – mondta a *Nature* tudományos folyóiratnak a Kaliforniai Egyetem berkeley-i intézményének professzora. „Nagyon sok csodálatos tudóst ismerek, akik soha nem fogják megkapni a Nobel-díjat, és nem azért, mert ne lennének fantasztikusak” – folytatta, hozzátéve, hogy ez alázatra készíti.

Az általuk kidolgozott eljárás forradalmasította az élettudományokat, hozzájárul a rák elleni új terápiák kidolgozásához és valóra válthatja az örökletes betegségek gyógyításáról szóló álmokat – írták, hozzátéve: a kutatóknak módosítaniuk kell a géneket, ha meg akarják ismerni az élet belső működését. Ez időigényes, nehéz feladat volt, néha lehetetlen is. A CRISPR/Cas9 genetikai ollót használva azonban most már néhány hét alatt meg lehet változtatni az élet kódját.

A molekuláris olló felfedezése és a Nobel-díj odaítélése között kevesebb mint tíz év telt el, ez szakértők szerint rövid időnek számít a világ legrangosabb tudományos elismerése esetében. Az eljárásban rejlő hatalmas lehetőségek – Doudna egyik startup cége például már a koronavírus elleni küzdelemben való alkalmazhatóságán dolgozik – azonban egyesek szerint aggodalomra adnak okot, attól tartanak, hogy rossz célokra, például „dizájner bébik” létrehozására használhatják. „Hatalmas lehetőségek rejlenek ebben a genetikai eszközben mindnyájunk számára. Nem csak az alaptudományt forradalmasította, hanem innovatív termékeket is szült és úttörő új orvosi kezelésekre fog vezetni” – emelte ki *Claes Gustaffson*, a kémiai Nobel-bizottság elnöke.

Mint oly gyakran a tudományban, a genetikai olló feltalálása is váratlan volt. Az ember számára egyik legártalmasabb baktériumot, a *Streptococcus pyogenes* tanulmányozva felfedezett egy korábban ismeretlen molekulát, a tracrRNA-t. Kimutatta, hogy a tracrRNA része a baktérium immunrendszerének (CRISPR/Cas), amely úgy ártalmatlanítja a vírusokat, hogy széthasítja a DNS-üket.

Emmanuelle Charpentier 2011-ben tette közzé eredményeit. Ugyanabban az évben kezdeményezte a közös munkát a tapasztalt biokémikus Jennifer Doudnával, aki kiterjedt ismeretekkel rendelkezett a DNS-hez hasonló polimer óriásmolekuláról, a ribonukleinsavról (RNS). Együtt sikerült kémcsőben újraalkotniuk a baktérium genetikai ollóját és egyszerűsíteniük az olló molekuláris komponenseit, hogy könnyebb legyen a használata.

ta. Ezután egy korszakalkotó kísérletben újraprogramozták a molekuláris ollót. Természetes formájában a genetikai olló a vírusok örökítőanyagát ismeri fel, Emmanuelle Charpentier és Jennifer Doudna azonban bebizonyította, hogy az ollót irányítás alá vonva bármilyen DNS-molekulát el tudnak vágni vele egy előre meghatározott helyen. Ahol a DNS-t elvágták, könnyű újraírni az élet kódját.

Amióta a két tudós 2012-ben felfedezte a CRISPR/Cas9 molekuláris ollót, robbanásszerűen nőtt az eljárás alkalmazása. Az olló sok fontos felfedezésben játszott szerepet az alaptudományban, a növénykutatók képesek voltak a penészgombával, a kórokozókval és az aszályval szemben ellenálló növények kifejlesztésére a segítségével, az orvoslásban pedig több új rákterápia klinikai tesztje is folyamatban van. A genetikai olló új korszakot nyitott az élettudományokban, és sok tekintetben a legnagyobb hasznára van az emberiségnek – írta a Nobel-bizottság.

A molekuláris biológia egyik Szent Grálja az a felfedezés, amelyért idén odaítélték a kémiai Nobel-díjat, felforgatta az alap és alkalmazott biológiai kutatások módszertanát – mondta *Varga Máté*, az ELTE TTK genetikus. „Évek óta világos volt mindenki számára, hogy a CRISPR-ért kiosztanak majd egy Nobel-díjat, a kérdés csak az volt, hogy melyik évben és kik kapják” – mondta Varga Máté, aki úgy vélte, az orvosi Nobel-díj még korai lett volna, ráadásul túl sokan voltak a potenciális díjazandók, le kellett szűkíteni a listát. A most díjazott kutatók mellett ugyanis Bostonban a Broad Intézetben dolgozó *Feng Zhang* és *George Church* csoportja is nagyon sokat munkálkodott azon, hogy ez a CRISPR-rendszer ne csak egy érdekesség, hanem valóban egy olyan eszköz legyen, amellyel célzottan lehet gént szerkeszteni – tette hozzá a kutató, aki szerint annak feltárásában pedig, hogy mi az alapvető biológiai szerepe en-

nek a rendszernek a természetben, még sokkal többen játszottak fontos szerepet.

Varga Máté szerint a Nobel-bizottság tagjai azzal, hogy ezért a felfedezésért kémiai Nobel-díjat ítéltek oda, „átvágták a gordiuszi csomót”. „Ez egy kicsit olyan volt, mintha megtalálták volna a molekuláris biológia Szent Grálját, mert nagyon sokan keresték, sokféleképpen próbálták megfejteni a kérdést, és voltak más genomszerkesztő próbálkozások is, de mindegyik körülményesebb és sokkal-sokkal drágább volt mint ez” – mondta a genetikus, hozzátéve, hogy ez a felfedezés „hihetetlenül” gyorsá és olcsóvá tette a DNS célzott szerkesztését, és tudomása szerint minden létező organizmusban jól működik.

A CRISPR/Cas9 eljárást a 2015-ös év tudományos áttörésének választották. Charpentier és Doudna az elmúlt években számtalan tudományos kitüntetést kapott, köztük a norvég Kavli-díjat, a kanadai Gairdner Nemzetközi Díjat, a *Mark Zuckerberg* és felesége alapította Breakthrough Prize in Life Sciences díjat és a Wolf-díjat, amelyet idén ítéltek oda nekik a CRISPR genomszerkesztő rendszer kifejlesztéséért. Az amerikai Time magazin Charpentiert és Doudnát 2015-ben a világ 100 legbefolyásosabb embere közé választotta. A kitüntetettek 10 millió svéd koronán (342,2 millió forintos összegben) osztoznak. A díjátadó ünnepséget hagyományosan december 10-én, az elismerést alapító Alfred Nobel halálának évfordulóján tartják, a koronavírus-világjárvány miatt ezúttal azonban a megszokottnál szerényebb körülmények között.

Forrás:

<https://sg.hu/cikkek/tudomany/142855/genszerkesztesert-jart-a-kemiai-nobel-dij>

Válogatta: Berke Barnabásné