

Genom-Editierung zwischen Skandal und Praxiseinsatz

Die Genveränderung bei Babys in China vor einem Jahr stiess auf einhellige Ablehnung. Nun sind bei uns Crispr-Therapien auf dem Weg in die Klinik. Warum das kein Widerspruch ist, erklärt Jacob Corn.

Der Aufschrei war gross vor einem Jahr als der chinesische Forscher He Jiankui auf einer Konferenz verkündete, er habe das Genom mehrerer Embryonen mit der Crispr-Cas-Technologie verändert. Die Embryonen seien in die Gebärmutter einer Frau implantiert worden, welche zwei genetisch veränderte Säuglinge zur Welt gebracht habe. Jüngste Berichte erwähnen gar noch einen dritten veränderten Säugling.

Wissenschaftler weltweit sind sich einig: Keinesfalls dürfen veränderte Embryonen in die Gebärmutter einer Frau implantiert werden und keinesfalls dürfen veränderte Kinder zur Welt gebracht werden.

In Ländern, wo das gesetzlich erlaubt ist – die Schweiz gehört nicht dazu –, darf unter sehr strengen Bedingungen Forschung mit Crispr auch an menschlichen Embryonen gemacht werden. Diese Bedingungen beinhalten, dass Experimente nach 14 Tagen abgebrochen werden und die Embryonen niemals in die Gebärmutter einer Frau implantiert werden dürfen.

Die Weltgemeinschaft ist sich jedoch einig, dass die Crispr-Genom-Editierungs-Methoden noch nicht genügend ausgreift sind, um damit die menschliche Keimbahn (Eizellen und Spermien) zu verändern. Dies deshalb, weil wir Wissenschaftler noch nicht ausreichend verstehen, wie der Crispr-Cas-Mechanismus bei menschlichen Embryonen funktioniert. Wir können nicht ausschliessen, dass es bei der Anwendung der Technologie auch zu anderen als den gewünschten Veränderungen kommen kann, auch zu potenziell schädlichen Modifikationen. Indem He Jiankui in die menschliche Keimbahn eingriff, überschritt er eine rote Linie: Die in China geborenen Kinder werden ihre Genveränderungen dereinst an ihre Nachkommen weitergeben.

Klinische Studien in Europa und den USA

Bei all der Empörung über He Jiankui's Veränderung der menschlichen Keimbahn mag es auf den ersten Blick verblüffen, dass derzeit vor unserer Haustür – in Europa und den USA – klinische Studien durchgeführt werden, in denen die Crispr-Technologie bei Menschen zum Einsatz kommt: Vor wenigen Wochen berichteten zwei amerikanische Firmen¹ sowie eine deutsche Universität² über erste Erfolge mit Crispr-Therapien bei Patienten, die an Beta-Thalassämie oder Sichelzellanämie leiden. Der wesentliche Unterschied besteht jedoch darin, dass diese Therapien *nicht* zur Weitergabe von genetischen Veränderungen an zukünftige Generationen führen. Vielmehr sind diese Therapien mit einem Medikament zu vergleichen: Sie wirken nur auf den individuellen Patienten.

Beta-Thalassämie und Sichelzellanämie sind schwere Erbkrankheiten, bei welcher die Bildung der roten Blutzellen gestört ist. Auch ich bin an einem (weiteren) Projekt von amerikanischen Wissenschaftlern beteiligt³, in dem wir versuchen, mit Crispr Sichelzellanämie zu heilen. Wir planen, mit den klinischen Studien im kommenden Jahr anzufangen.

Alle diese Studien unterscheiden sich grundlegend von den chinesischen «Crispr-Babys»: Bei allen

Genom-Editierungs-Therapien, die derzeit klinisch erprobt werden, werden nur die *somatischen* Zellen und nicht die Keimzellen (Eizellen und Spermien) verändert. Die somatischen Zellen sind die gewöhnlichen Körperzellen, jede der Haut, Muskeln, Leber, des Bluts und so weiter. Bei den Genom-Editierungs-Therapien von Blutkrankheiten wie der Sichelzellanämie handelt es sich bei im Prinzip um eine Knochenmarktransplantation, allerdings um eine, bei der die Patienten ihre eigenen Knochenmarkspender sind. Ärzte entnehmen das Knochenmark eines Patienten, verändern die Zellen ausserhalb des Körpers mit Crispr und führen sie wieder ins Knochenmark ein.

Unser Blog wurde zum [Wissenschafts-Blog des Jahres 2019](#) gewählt. Das Redaktionsteam bedankt sich bei allen Leserinnen und Unterstützern.

Bei diesen Therapien werden ausschliesslich die einzelnen Patienten behandelt. Weil die Genveränderungen nicht an zukünftige Generationen weitergegeben werden, können unter Umständen später ihre Kinder dennoch am Erb-leiden erkranken. Ist dies der Fall, sind die Kinder jedoch selbst in der Lage, zu entscheiden, ob und wie sie die Erkrankung behandeln wollen.

Grosses Potenzial für Therapien

Beta-Thalassämie und Sichelzellanämie sind zwei Beispiele für Erbkrankheiten, die durch ein einziges defektes Gen verursacht werden. Insgesamt sind über 7000 solcher Erkrankungen bekannt. Im Prinzip haben sie alle das Potenzial, dereinst per Crispr-Genom-Editierung therapiert zu werden. Zahlreiche Forschungsprojekte laufen in diesem Bereich, darunter solche, mit denen Muskeldystrophie, Stoffwechselerkrankungen, welche die Leber schädigen, eine angeborene Form von Blindheit sowie angeborene schwere Störungen des Immunsystems geheilt werden sollen. Darüber hinaus gibt es klinische Studien, in denen Crispr zur Bekämpfung einiger Krebsarten eingesetzt wird – indem körpereigene Immunzellen so verändert werden, dass sie die Tumorzellen angreifen.

Wir leben in einer sehr aufregenden Zeit, was die genetische Medizin angeht. Seit Millionen von Jahren leidet die Menschheit an genetischen Krankheiten, ohne dass ihre Ursachen therapiert werden konnten. Mit Crispr ist die Genom-Editierung nun verhältnismässig einfach geworden. Dies gibt uns die Möglichkeit, zahlreichen Patienten erstmals eine Behandlung anzubieten.

Wenn wir uns den Fall eines Schurken wie He Jiankui anschauen, müssen wir aufpassen, dass wir ihn nicht mit jenen Genom-Editierungs-Ansätzen verwechseln, die sich davon grundsätzlich unterscheiden, die mit grosser Vorsicht angewandt und bei denen keine Genveränderungen an Kinder weitergegeben werden.

¹ <https://crisprtx.gcs-web.com/news-releases/news-release-details/crispr-therapeutics-and-vertex-announce-positive-safety-and>

² <https://www.ukr.de/service/aktuelles/06156.php>

³ <https://cornlab.com/igi-makes-progress-toward-treating-sickle-cell-disease-with-crispr-cas9/>