

Особенности генной терапии и редактирования генома. актуальность изучения CRISPR/CAS систем

Мартиневич Владислав Вадимович

Белорусский государственный медицинский университет, Минск

Научный(-е) руководитель(-и) – кандидат биологических наук, доцент Хрусталева

Владислав Викторович, *Белорусский государственный медицинский университет, Минск*

Генная терапия — совокупность биотехнологических и медицинских методов, направленных на внесение изменений в генетический аппарат соматических клеток человека в целях лечения заболеваний. Это новая и бурно развивающаяся область, ориентированная на исправление дефектов, вызванных мутациями (изменениями) в структуре ДНК, поражением ДНК человека вирусами или придания клеткам новых функций. Исторически генная терапия нацеливалась на лечение наследственных генетических заболеваний, однако поле её применения, по крайней мере теоретически, расширилось. В настоящее время генную терапию рассматривают как потенциально универсальный подход к лечению широкого спектра заболеваний, начиная от наследственных, генетических, и заканчивая инфекционными.

CRISPR (от англ. clustered regularly interspaced short palindromic repeats — короткие палиндромные повторы, регулярно расположенные группами) — особые локусы бактерий и архей, состоящие из прямых повторяющихся последовательностей, которые разделены уникальными последовательностями (спейсерами). Спейсеры заимствуются из чужеродных генетических элементов, скоторымисталкивалась клетка (бактериофагов, плазмид). РНК, транскрибирующиеся с локусов CRISPR, совместно с ассоциированными белками Cas обеспечивают адаптивный иммунитет за счёт комплементарного связывания РНК с нуклеиновыми кислотами чужеродных элементов и последующего разрушения их белками Cas. Впрочем, к настоящему моменту имеется немало свидетельств участия CRISPR в процессах, не связанных с иммунитетом. Использование методик CRISPR-Cas для направленного редактирования геномов является перспективным направлением в современной генной инженерии. В настоящее время учёные широко используют подходы, основанные на системах CRISPR-Cas; возможно, в будущем эти подходы будут применять в медицине для лечения наследственных заболеваний. Целью данной научно-исследовательской работы является изучение принципов генной терапии и редактирования генома, а также систематизация данных о CRISPR/Cas-системах, анализ перспектив применения этих систем в микробиологии и генетической инженерии.

Раскрыты проблемы точности редактора гена, улучшения CRISPR/CAS9, контроля и обеспечения качества для редактирования генов, использования dCAS9 для регулирования транскрипции или изготовления эпигенетических модификаций, редактирования митохондриального генома. Легкость дизайна, а также замечательная специфика и эффективность системы CRISPR/Cas9 произвели революцию в области редактирования генома и возродили интерес к возможности редактирования генома человека. Разработка системы CRISPR/Cas9 в качестве программируемого инструмента для редактирования генома была построена на прочной основе более ранних исследований.