

Czy edycję genów stosuje się w dopingu sportowców?

26 września 2022

Nowe techniki edycji genów są nadzieją w terapii chorób jednogenowych, np. mukowiscydozy czy dystrofii mięśniowej Duchenne'a. Nie zdziwiłbym się jednak, gdyby okazało się, że gdzieś na świecie są redagowanie genomu stosuje się nielegalnie, w dopingu sportowców – opowiedział genetyk prof. Paweł Golik.

O modyfikacjach genetycznych człowieka naukowiec z Wydziału Biologii Uniwersytetu Warszawskiego opowiedział w ramach wykładu w czasie Festiwalu Nauki w Warszawie.

Masowa wyobraźnia związana z modyfikacjami genetycznymi człowieka ożyła, kiedy 10 lat temu opracowano metodę CRISPR-CAS9, która umożliwia precyzyjne edytowanie DNA – z dokładnością do pojedynczych nukleotydów – liter DNA. Metoda ta jest też prostsza i tańsza niż tradycyjne metody inżynierii genetycznej. A w dodatku łatwiej dostosować ją do eksperymentów na różnych gatunkach.

Prof. Golik zaznaczył, że jeśli edytuje się genom organizmów wielokomórkowych, można to zrobić w dwóch różnych typach komórek: zarodkowych lub somatycznych. Edycja komórek zarodkowych: macierzystych lub linii płciowej (czyli komórek jajowych lub plemników) oznacza, że wprowadzona zmiana może zostać przekazana kolejnym pokoleniom i będzie obecna w komórkach potomstwa. „Takie metody są już powszechnie wykorzystywane jako narzędzie badawcze – choćby w badaniu zwierząt laboratoryjnych” – podsumował prof. Golik.

Badacz przypomniał jednak o wyjątku – niesławnym eksperymencie, który przeprowadził He Jiankui. Ten chiński badacz w 2018 r. ogłosił (i to wcale nie poprzez recenzowaną publikację naukową), że na świat przyszły dziewczynki, którym

zedytowano genom metodą CRISPR-CAS9. Jiankui chwalił się, że zmienił w zarodkach bliźniaczek jeden z genów. Dzięki temu dzieci miałyby uzyskać odporność na wirusa HIV, którym zainfekowany był ich ojciec. Prof. Golik skrytykował ten eksperyment. Po pierwsze na przeprowadzenie eksperymentu Jiankui nie uzyskał zgody komisji bioetycznej – eksperyment był niezgodny z prawem, dlatego naukowiec zamknięto w więzieniu (odsiadkę zakończyć miał w tym roku). Po drugie, edycja tego genu nie była konieczna, żeby zabezpieczyć dzieci przed zakażeniem – do tego wystarczyłoby oczyścić nasienie ojca przed zapłodnieniem in vitro. A po trzecie, późniejsze badania genetyczne pokazały, że dziewczynki wcale nie uzyskały faktycznej gwarancji odporności na wirusa. „To był więc eksperyment nie tylko nieetyczny, niepotrzebny, ale i nieudany” – podsumował prof. Golik.

Jeśli chodzi o edycję komórek, które będą przekazywane potomstwu, to naukowcy na całym świecie są raczej zgodni, że nie należy tego robić – w 2019 r. powstało moratorium – apel o powstrzymanie się od prowadzenia edycji dziedzicznych linii genomu człowieka podpisane przez wielu genetyków.

Prof. Golik opisuje, że w laboratoriach na świecie prowadzi się badania polegające na edytowaniu genów w ludzkich zarodkowych komórkach macierzystych. „Barierą, której się jednak nie przekracza, jest implantacja takiego zarodka do organizmu kobiety i doprowadzenie do ciąży” – opowiedział naukowiec.

Edytowanie genomu zarodków to jednak nie koniec możliwości edytowania genomu. CRISPR-Cas9 daje też bowiem możliwość edycji genów w żyjących komórkach somatycznych – budujących ciało – których DNA nie jest przekazywane potomstwu.

Badacz zaznacza jednak, że niektóre tkanki łatwiej będzie edytować niż inne: i tak np. być może komórki mięśni będzie się dało „poprawiać” za pomocą zastrzyków. A komórki układu oddechowego – sposobami „zauważonymi” u wirusów. Nie wszystkie

tkanki są jednak na razie w zasięgu możliwości technik edycji genów. „Do komórek ośrodkowego układu nerwowego w prosty sposób dotrzeć się nie da” – wskazał badacz.

Dla jakich chorób trwają już zaawansowane prace nad wykorzystaniem edycji genomu do terapii pacjentów? Prof. Golik wymienił, że są to mukowiscydoza oraz dystrofia mięśniowa Duchenne’a.

Dystrofia mięśniowa Duchenne’a wyniszcza mięśnie na skutek mutacji genu kodującego pewne białko związane z działaniem mięśni – dystrofina. „To bardzo długie białko zbudowane z wielu powtórzeń” – wytłumaczył genetyk. Mutacje mogą zaś powodować, że organizm produkuje takie białko, ale krótsze, niespełniające dobrze swojej funkcji. Badacze więc wpadli na pomysł, jak zmienić działanie wadliwego genu i pominąć mutację, która skraca białko. Prof. Golik dodał, że w ostatnich tygodniach amerykańska FDA dała zielone światło dla użycia edycji genów w terapii tej choroby.

Genetyk dodał, że innymi komórkami, które stosunkowo łatwo będzie można edytować, są te, które dają się hodować ex vivo, a więc można je utrzymać przy życiu poza organizmem – to choćby komórki skóry czy krwi. Takie komórki można pobrać z ciała pacjenta, dostarczyć do nich białkowe narzędzia edytujące genom, sprawdzić jakość wprowadzonych zmian, namnożyć je, a następnie wprowadzić komórki do organizmu. Ryzyko odrzucenia takich naprawionych i „przeszczepionych” komórek będzie o wiele mniejsze niż w przypadku zwykłego przeszczepu, bo dawcą i biorcą jest tu ten sam pacjent.

Wykładowca powiedział, że był już przypadek wyleczenia osoby z pęcherzowym oddzielaniem się naskórka za pomocą metod edycji genów. Zaawansowane są też prace nad leczeniem genetycznych chorób krwi, takich jak anemia sierpowata czy talasemia. Poza tym są i pomysły, jak można by było walczyć z HIV za pomocą redagowania komórek szpiku chorych osób.

Kolejną nadzieją jest edycja komórek układu odpornościowego – limfocytów – które również dają się hodować i namnażać poza organizmem. Jedną z obiecujących terapii jest terapia przeciwnowotworowa z wykorzystaniem zmodyfikowanych limfocytów T. Wykrywają one komórki wrogie za pomocą białek receptorowych. Można tak zmodyfikować kodowane w limfocytach T białka, by nakierowywały one na określone komórki – np. nowotworowe. „Już są przypadki wyleczenia w ten sposób nowotworów” – poinformował prof. Golik.

Badacz zapytany przez portal „Nauka w Polsce” czy to możliwe, że edycję genomu stosuje się już gdzieś na świecie w dopingowaniu sportowców, odpowiedział: „Nie słyszałem o tym, ale nie zdziwiłbym się, gdyby tak było”. Podał przykład, że za pomocą edycji genów można byłoby np. zwiększyć produkcję erytropoetyny – aby poprawić wydolność oddechową w sportach wytrzymałościowych. Taki doping dałoby się wykryć najwyżej, jeśli na skutek takiej ingerencji produkcja erytropoetyny w organizmie wyszłaby poza przyjęte normy. „Jeśli chodzi o sport zawodowy – niewiele mnie zdziwi” – ocenił badacz. I dodał, że to raczej właśnie w sporcie, a nie w laboratoriach naukowych spodziewałby się nieetycznych działań związanych z edycją ludzkiego genomu.

Autorstwo: Ludwika Tomała

Źródło: NaukawPolsce.pl