



В мире была выдана первая лицензия на генетическую модификацию человеческих эмбрионов

1 февраля 2016 г. произошло важное событие: Британское управление, контролирующее исследования в области оплодотворения и эмбриологии человека, впервые выдало разрешение на внесение изменений в гены человеческих эмбрионов. Лицензию получила группа ученых из Института Френсиса Крика, которая планирует подробно изучить работу генов на ранних стадиях развития зародыша. Ученые полагают, что, разобравшись в сложной эмбриональной машинерии, они смогут усовершенствовать методику искусственного оплодотворения и уменьшить вероятность невынашивания беременности. Однако пока ученые предпочитают удивительные открытия, в прессе звучат опасения, что британцы «выпустили джинна из бутылки» и вот-вот начнут «проектировать» детей, целенаправленно изменяя их генетические характеристики. Прежде чем составить собственное мнение о событии, вспомним, что ему предшествовало...

ЗАЧЕМ РЕДАКТИРОВАТЬ ГЕНОМ ЧЕЛОВЕКА?

Прежде всего для лечения генных заболеваний. Медицине известен ряд болезней, вызванных повреждением всего одного гена. Чаще это гены, кодирующие тот или иной белок. Дефект гена приводит к нарушению структуры, функции или количества синтезированного белка и, соответственно, развитию патологии. К таким генным заболеваниям относятся различные гемоглобинопатии, муковисцидоз, фенилкетонурия и др. До сегодняшнего дня эти недуги являются неизлечимыми: можно проводить замещающую терапию, устранять симптомы, но от причины недуга избавиться невозможно. Для устранения причины нужно исправить дефектный ген, для этого и разрабатываются технологии редактирования генов. Возможно ли, что кто-то использует их с неблагоприятной целью? Безусловно, но четкое законодательное регу-

лирование и жесткий контроль сведут такой риск к минимуму. Когда в 1996 г. клонировали овцу Долли, все твердили, что не избежать аморальных экспериментов над человеком, но на сегодняшний день ситуация находится под контролем.

КАК РЕДАКТИРУЮТ ГЕНОМ?

Настоящим прорывом в биомедицине стала технология редактирования генома CRISPR/Cas, или «криспер». Она оказалась значительно удобнее всего, что было предложено ранее. CRISPR/Cas — система защиты бактерий от чужеродного генетического материала. Она включает короткую молекулу РНК, комплементарную участку ДНК, который нужно уничтожить, а также фермент нуклеазу, осуществляющую непосредственно разрушение ДНК. Подобрать подходящую РНК, можно найти и вырезать дефектный ген. Если в клетке есть вторая нормальная копия гена (а так часто бывает при генных заболеваниях), то используя ее как матрицу, специальные ферменты быстро залатают разрыв в ДНК. В результате получится две нормальные копии гена.

Технологию CRISPR/Cas с 2013 г. активно используют на модельных организмах (дрожжах, плодовых мушках и др.), а также культурах клеток человека. В начале 2015 г. китайские ученые впервые произвели замену гена в человеческом эмбрионе. Были использованы зародыши на стадии 1–8 клеток, полученные методом искусственного оплодотворения; они содержали лишний набор хромосом, поэтому не могли дать начало новой жизни. Зародыши содержали дефектный ген бета-глобина, который нужно было заменить нормальным. Из 71 выжившего эмбриона только в 28 дефектный ген был вырезан и лишь в нескольких произошла успешная замена дефектного гена нормальным. Кроме того, было обнаружено, что «криспер» вызвал появление мутаций во всем

геноме. Это означает, что впереди еще годы и годы совершенствования технологии.

В декабре 2015 г. в США прошел саммит, на котором эксперты из Великобритании, США и Китая обсудили перспективы развития генетической инженерии человека. Проанализировав все риски, участники объявили нежелательным внесение изменений в гены эмбрионов человека, предназначенных для нормального развития в период беременности. При этом было признано допустимым редактирование генов эмбрионов человека и стволовых клеток в исследовательских целях. Британская лицензия, о которой мы говорили ранее, вполне вписывается в эту политику.

КАКИЕ ЭКСПЕРИМЕНТЫ РАЗРЕШЕНЫ В ВЕЛИКОБРИТАНИИ?

Важно отметить, что речь не идет о полной легализации в Великобритании генетической модификации человеческих эмбрионов. Лицензия выдана только одной группе молекулярных биологов, которой руководит доктор Kathy Niakan, исключительно для проведения исследований молекулярных механизмов эмбрионального развития. Каждый эксперимент в рамках лицензии должен дополнительно получать одобрение совета по этике. Материалом для исследований являются донорские эмбрионы, полученные при искусственном оплодотворении и оставшиеся не использованными. Будет изучено влияние различных генов на эмбриональное развитие в первые 7 дней после оплодотворения, то есть до стадии 250 клеток. Генетически модифицированным эмбрионам не дадут развиваться дольше 14 дней. Предполагается получить полную генетическую картину того, как в норме развивается эмбрион человека. Эти данные бесценны в борьбе с бесплодием и невынашиванием беременности.

Подготовила Татьяна Ткаченко