



# Gensaxen: ett redskap för att förändra livets kod

Emmanuelle Charpentier och Jennifer A. Doudna tilldelas 2020 års Nobelpris i kemi för upptäckten av gensaxen CRISPR/Cas9, ett av genteknikens skarpaste verktyg. Med hjälp av den kan forskare med hög precision förändra arvsmassan i djur, växter och mikroorganismer. Tekniken har revolutionerat de molekylära livsvetenskaperna, öppnar nya möjligheter till växtförädling och kan göra verklighet av drömmen om att bota ärftliga sjukdomar.

För att kunna ta reda på hur livet fungerar behöver forskare kunna förändra den genetiska koden i celler. Tidigare var detta ett tidsödande och ibland omöjligt arbete. Cellens arvs massa är som ett enormt uppslagsverk med tusentals volymer. Att lokalisera en speciell gen och skriva om gens kod, var förut ofta värre än att hitta en nål i en höstack. Men tack vare gensaxen CRISPR/Cas9 går det numera att förändra koden i en gen inom loppet av några veckor.

Som så ofta inom vetenskapen var upptäckten av gensaxen oväntad. **Emmanuelle Charpentier** studerade den sjukdomsframkallande streptokocken *Streptococcus pyogenes*, när hon upptäckte en tidigare okänd molekyl, tracrRNA, som visade sig vara en viktig kugge i bakteriens uråldriga immunsystem, CRISPR/Cas.

CRISPR/Cas skyddar bakterier mot virus. Systemet formar som ett slags molekylär sax, som känner igen och klipper sönder skadligt virus-DNA. Emmanuelle Charpentier började samarbeta med **Jennifer Doudna**, och de lyckades återskapa bakteriens gensax i ett provrör.

I ett epokgörande experiment programmerade de sedan om gensaxen. De visade att den går att styra, så att den klipper av en gen på ett förutbestämt ställe. Där klippet ligger är det sedan lätt att skriva om livets kod.

Sedan Charpentier och Doudna år 2012 publicerade upptäckten av gensaxen, har användningen av den exploderat. Metoden är enormt kraftfull och lämnar ingen oberörd.

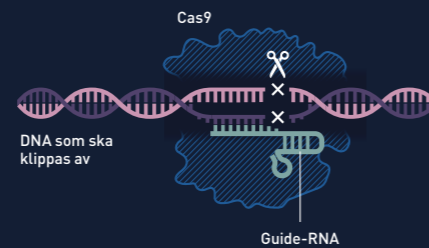
**Emmanuelle Charpentier**  
Född 1968 i Frankrike.  
Director för Max Planck Unit for the Science of Pathogens, Berlin, Tyskland.

**Jennifer A. Doudna**  
Född 1964 i USA.  
Professor vid University of California, Berkeley, USA.



## Gensaxen klipper av DNA

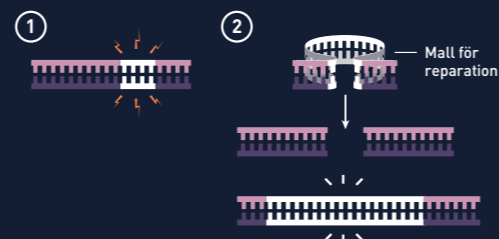
När forskare ska förändra en arvs massa bygger de på konstgjord väg ett *guide-RNA*, som matchar DNA-koden där klippet ska göras. Saxproteinet *Cas9* kopplar till guide-RNA, som styr saxen till den önskade platsen i arvs massan.



## Livets kod skrivs om när DNA repareras

Forskarna kan låta cellen själv reparera klippet i arvs massan (1). Det leder i de flesta fall till att genens funktion slås ut.

Vill forskarna infoga eller förändra en gen, kan de specialdesigna en liten mall av DNA för detta (2). Cellen kommer att utgå från mallen när den reparerar klippet i genen. Det leder till att koden i genen förändras.



## Viktigt verktyg inom grundforskningen

Forskare över hela världen använder numera gensaxen för att förstå hur arvs massan styr olika funktioner i celler eller organismer. När de slår ut eller förändrar en gen, kan de ta reda på vilken funktion den fyller under exempelvis ett sjukdomsförlopp.

## Revolution av växtförädlingen

Med hög precision kan forskare utveckla grödor som klarar torka bättre i ett varmare klimat, eller motstår insekter och skadliga mikroorganismer som annars måste bekämpas med pesticider. De har även exempelvis förändrat ris, så att det inte suger upp giftiga tungmetaller som arsenik från jorden.

## Genetiska sjukdomar kan botas

Inom medicinen bidrar gensaxen till nya immunoterapier mot cancer. Dessutom håller man på att uppnå en önskedröm: att kunna bota livslånga ärftliga sjukdomar. I kliniska studier undersöker forskare om de kan åtgärda genskador som orsakar blodsjukdomarna sicklecellanemi och beta-thalassemi, och ärftliga ögonsjukdomar.

Det är förbjudet att förändra gener i köns celler eller embryon på ett vis som gör att förändringarna kan gå i arv. Att gensaxen kan användas på så många olika vis kommer att ställa mänskligheten inför nya etiska frågor. Samtidigt kan gensaxen bidra till att lösa många av de utmaningar som världen står inför.