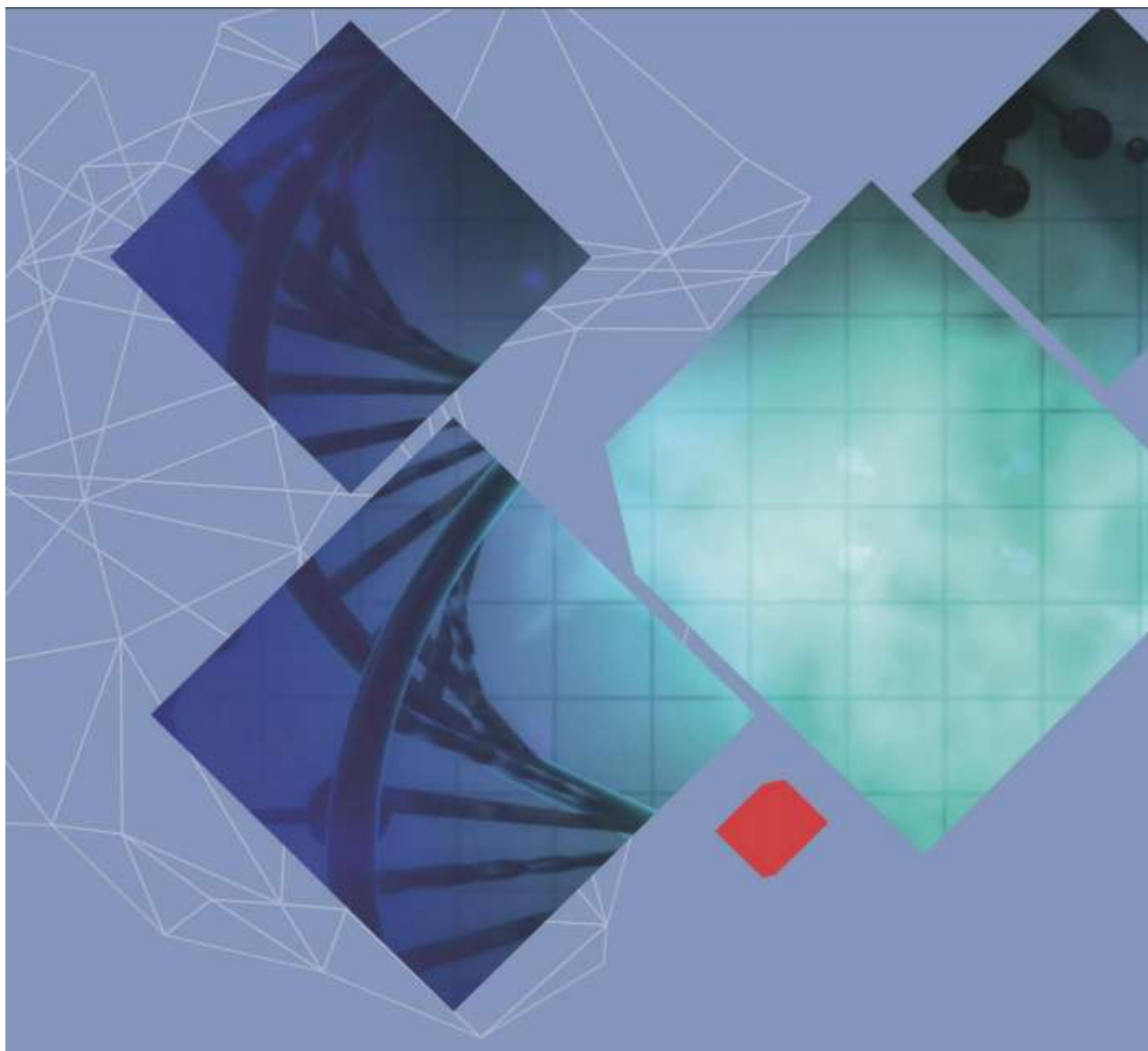


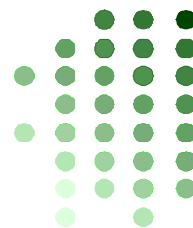
2017. december 18.

[http://mta.hu/tudomany\\_hirei/precizios-gen-es-genomszerkesztes-az-elhetobb-vilagert-a-magyar-tudomanyos-akademia-allasfoglalasa-108320](http://mta.hu/tudomany_hirei/precizios-gen-es-genomszerkesztes-az-elhetobb-vilagert-a-magyar-tudomanyos-akademia-allasfoglalasa-108320)

## PRECÍZIÓS GÉN- ÉS GENOMSZERKESZTÉS AZ ÉLHETŐBB VILÁGÉRT

- a Magyar Tudományos Akadémia állásfoglalása -

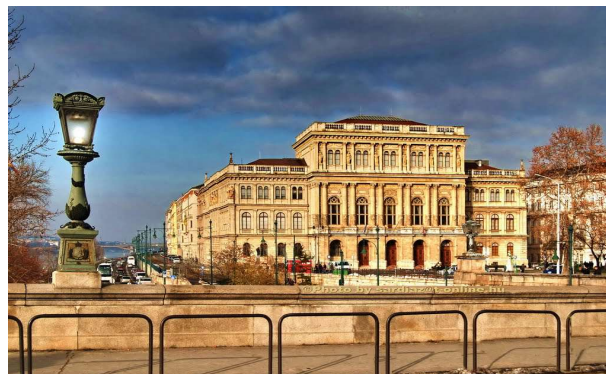




**Az** élőlények örökletes információit hordozó DNS-molekulák összessége a genom, melynek funkcionális egységei a gének. A gének szerkezeti felépítése, működése alapvetően meghatározza az életfolyamatokat és ezzel az élőlények sajátosságait. Míg a természetben a genomok változásai az evolúciós folyamatok során következhetnek be, addig az ember által szaporított élő szervezetek esetében különböző nemesítési módszerekkel emberi célok érdekében történik a genomok génösszetételének, illetve a gének szerkezetének megváltoztatása. **A 21. század biológiájának egyik legjelentősebb felfedezése a genomszerkesztési technikák kifejlesztése, amelyekkel egy kiválasztott célgén DNS-ét megtervezetten lehet elvágni, illetve módosítani, és így tetszés szerinti mutációt előidézni.** Ez a lehetőség forradalmasította a kutatást, és jelentősen előmozdítja a biológiai funkciók megismerését. A kifejlesztett eszköztár számos társadalmi célkitűzés megvalósítását segítheti az orvoslásban, a mezőgazdaságban, az élelmiszer-termelésben és -feldolgozásban, a betegségterjesztő természetes rovarpopulációk korlátozásában, a mikrobiális biotechnológiában vagy akár a biogazdaságban.

Tekintettel a legújabb kutatási eredményekre és az innovációs világtendenciákra a Magyar Tudományos Akadémia szükségesnek tartja ezen alkalmazási perspektívák megismertetését, az esetlegesen felmerülő problémák széles körű társadalmi vitáját, illetve az egyes alkalmazások etikai és törvényi szabályozásának mérlegelését, újragondolását. **Nemzeti érdekünknek tekinti, hogy a genomszerkesztési módszerekre alapozott hazai élettudományi kutatások be tudjanak kapcsolódni a nemzetközi folyamatokba, és innovatív tényezőként segítsék a biotechnológiai fejlesztéseket.** Az új technológiákat, elsősorban azok leghatékonyabb, legsokoldalúbban használható és legolcsóbb változatát, az ún. CRISPR/Cas9 módszert már számos hazai egyetemi, akadémiai és ipari laboratórium alkalmazza az alap kutatásban. Fontos, hogy az új ismeretek helyet kapjanak az oktatásban is.

A gyakorlati alkalmazási lehetőségeket a potenciális objektumok szerint az alábbi példák érzékel-  
tetik.



### Mezőgazdasági, növény- és állatnemesítési alkalmazások

A hagyományos nemesítési módszerek között találjuk a hirtelen fellépő genetikai változatok, a mutációk hasznosítását, amikor a DNS módosítását besugárzással vagy kémiai kezeléssel végzik. **Ezeket a véletlenszerű mutációkat válthatják fel azok az irányított mutációk, amelyek genomszerkesztéssel előre megtervezett módon állíthatók elő.** Sikeres kísérletek tanúsítják, hogy a genomszerkesztési módszerek eredményesen alkalmazhatók betegség-ellenálló gabonafélék, hímsteril kukorica vagy gyomirtószer-rezisztens növények előállítására. De van gazdasági haszna a génszerkesztéssel kialakított vírus-ellenállóságnak is. A genomszerkesztés lehetőségeit kihasználják olyan állatok (sertés) kinemesítéskor, amelyek emberi szervdonorként hasznosíthatók. Ez utóbbi egy olyan potenciálisan fontos és sokat ígérő lehetőség, amely feltétlenül új szabályozást igényel.

A genomszerkesztéssel nemesített fajták termesztésére és termékeik forgalmazására vonatkozó uniós szabályozás késik. A jelenlegi állásfoglalással az MTA támogatja az **EASAC** (*European Academies Science Advisory Council*, Európai Akadémiák Tudományos Tanácsadó Testülete) most megjelent javaslatát: **„Arra kérjük az EU-szabályozás megfogalmazóit, hogy mondják ki: a genomszerkesztéssel létrehozott termékek, amennyiben nem tartalmaznak idegen fajból származó DNS-t, nem esnek a genetikailag módosított szervezetekre (GMO-ra) vonatkozó szabályozás alá.”**



### A precíziós génszerkesztés orvosi alkalmazásának célterületei

A precíziós génszerkesztés egyik célterülete az **egyénes öröklődő betegségek kezelése**. A kb. 8000 monogénes betegség kialakulásáért felelőssé tehető génhibák egyre nagyobb arányban kerülnek felismerésre, a génszerkesztéssel tehát megnyílt a lehetőség arra, hogy a hiba precíz célzással kiiktatható legyen. Ennek sikere azonban csírasejteken történő beavatkozást feltételez, aminek klinikai alkalmazása az utódokon is megjelenő hatás miatt jelenleg szigorú tiltás alatt áll. A monogénes betegségek génszerkesztést alkalmazó kutatása ezért jelenleg preklinikai stádiumban van, s a csírasejtvonalakon folytatott szórványos kutatás világszerte szigorú engedélyeztetési és felügyeleti körülmények között történhet csak.

**Eltérő megítélés alá esik a szomatikus sejteken történő beavatkozás, mivel ennek nincs hatása az utódokra.** Az elmúlt években számos kutatási projekt indult olyan daganatos páciensek sejt-mintáin, akik kezelése a jelenleg alkalmazott módszerekkel eredménytelen volt. Genetikai módosításra ugyan lehetőség van *in vivo* is, az eddigi próbálkozások azonban *ex vivo* történtek, **azaz a páciens-től vett sejteket (általában vérlimfocitákat) kezelik, majd a módosított sejtthalmazt visszajuttatják a szervezetbe.**

A klinikai alkalmazás etikai megítélésében az egyik oldalon az a pozitív vélemény áll, hogy egy olyan lehetőség kifejlesztése, amely a rászorulóknak az egyetlen segítséget jelenti, feltétlenül támogatandó. Az etikai szempontok másik oldalán az alkalmazás minden lehetséges veszélyének kiiktatását célzó kötelesség áll. **A genomszerkesztési technológiák új távlatokat**

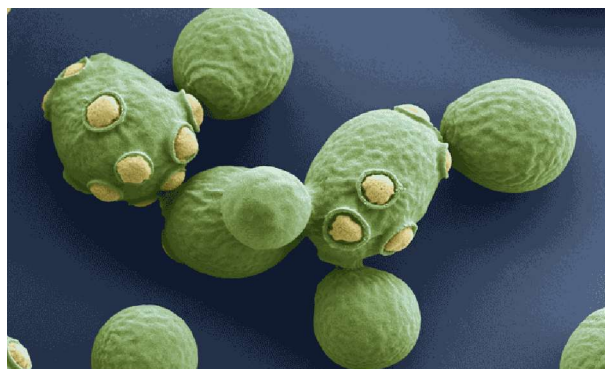
nyitnak a betegségmodellként használható laboratóriumi állatok létrehozásában kutatási vagy akár gyógyszerfejlesztési programokhoz.

**„Hajcsárgén-módszer (gene drive)”** – ez egy olyan új technológia, amely alkalmas az emberre veszélyes kártevők (pl. a Zika-vírust vagy a maláriát terjesztő szúnyogok) populációinak jelentős csökkentésére, sőt kiirtására. Mivel ez a módszer igen radikális beavatkozást jelent az élővilágba, és elég kevés kísérleti adattal rendelkezünk a hatásáról, alkalmazása rendkívüli körültekintést és nagyon szigorú, minden esetben egyedi vizsgálatot igényel.

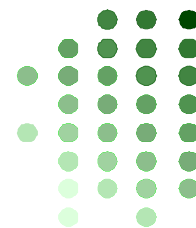
### Mikrobiális fermentációs biotechnológia

A baktériumok, gombák genomjának szerkesztésére is leggyakrabban a CRISPR/Cas9 rendszert használják. **A cél lehet a gén által kódolt fehérjében az aminosavak kicserélésével új tulajdonságú fehérje termeltetése.** Ilyen irányított mutagenézist végeztek probiotikus baktériummal. Élesztőgombában sikerrel alakítottak ki új bioszintetikus pályákat. De az alkalmazások köre szinte végtelen. A gyógyszerek előállítása mellett a nagy értékű vegyületek szintézise, bioüzemanyagok, bioszenzorok kifejlesztése szintén alkalmazható a genomszerkesztési technológiákra.

A bemutatott példák egész sora tanúsítja, hogy már a kezdeti eredmények alapján a genomszerkesztési módszerekkel előállított termékek gyors térhódítása várható, ezért a Magyar Tudományos Akadémia kezdeményezi mind a hazai közvélemény, mind a politikai döntéshozók tájékoztatását. **Érdekünk, hogy a tudományos tények bemutatásával az új eljárások lényege és jelentősége széleskörűen ismertté váljon, és ezzel a magyar gaz-**



élesztősejtek



## daság lehetőséget kapjon az új, innovatív technológiák előnyeinek jövőbeni kihasználására.

A Magyar Tudományos Akadémia mind a tájékoztatásban, mind a döntéshozatalban követendő stratégiai iránynak tartja az Európai Akadémiák Tudományos Tanácsadó Testületének a különböző szakpolitikák számára megfogalmazott ajánlásait. Ezek kiemelten hangsúlyozzák, hogy **a leendő szabályozásokat a várható alkalmazásokra kell megfogalmazni.**

Az élettudományi osztályok által támogatott előterjesztést Dudits Dénes, Kosztolányi György és Venetianer Pál, az MTA rendes tagjai készítették 2017. október 30-án. **Az előterjesztést 2017. november 28-án ellenszavazat nélkül támogatta és fogadta el az MTA Elnöksége.**

Budapest, 2017. december 6.



## Összefoglalás

Az utóbbi évek forradalmi változásokat hoztak az élettudományokban, elsősorban a genetikában, főleg a genomszerkesztés (*genome editing*) megjelenése és robbanásszerű térhódítása miatt. A genomszerkesztéssel olyan módszerek kerültek a kezünkbe, amelyekkel tetzés szerint, a korábbiaknál jóval pontosabban módosíthatjuk egy élőlény genetikai állományát (genomját), akár csak egy szöveget a Wordben.

A genomszerkesztés esetében talán minden korábbinál markánsabban látható, hogy a törvényhozás nem képes lépést tartani a technológiai fejlődéssel. A genomszerkesztés esetében is innovációs hátrányt jelent a szabályozási késedelem. Míg az Egyesült Államok és Kína már lépett a gazdasági potenciált jelentő technológia szabályozásában, az Európai Unió

még nem. Valós veszély, hogy Magyarország és Európa számára a bizonytalanság hátrányt jelent a nemzetközi kutatási és innovációs versenyben.

Az Európai Akadémiák Tudományos Tanácsadó Testülete (EASAC) néhány hónapja állásfoglalást adott ki, melyben ésszerűbb, a genomszerkesztési módszerek valódi lehetőségeihez és kockázataihhoz igazodó szabályozást sürgetnek. Most a Magyar Tudományos Akadémia is állást foglalt a témában.

Az MTA egyik legfontosabb megállapítása – összhangban az európai akadémiaikkal –, hogy

**a genomszerkesztés mint precíziós ne-  
mesítés alapvetően különbözhet a gene-  
tikailag módosított organizmusok (GMO)  
létrehozásától.**

A genomszerkesztés esetében lehetőség van arra, hogy más fajból származó, idegen gén beépítése nélkül lehessen az élő szervezetek tulajdonságait jobbitani. A genomszerkesztés során a megtervezett DNS-módosítás a természetben is lejátszódó folyamatokhoz hasonlóan valósítható meg, a korábbiaknál sokkal precízebben, ezzel is csökkentve a nem kívánt hatások kockázatát. Tudományos szempontok támasztják alá, hogy a genomszerkesztést – követve az EASAC ajánlását – a hazai szabályozás ne tekintse GMO-nak, így az Alaptörvénybe sem ütközne az ilyen szervezetek hasznosítása.

A genomszerkesztés elterjedőben lévő, új ne-  
mesítési módszer, amelynek máris számos mezőgaz-  
dasági alkalmazási lehetősége van, mint például az így  
kialakított betegség- vagy vírusrezisztens tenyés-  
anyagok. Az orvosi alkalmazások között kiemelendő,  
hogy megfelelő etikai szabályozás mellett kezelhetővé  
válhatnak olyan genetikai betegségek, melyeket  
egyetlen mutáció okoz (ilyen betegségből nagyjából  
8000 ismert). A genomszerkesztés lehetővé teheti új, a  
baktériumok, élesztőgombák által korábban nem ter-  
melt, az emberi gyógyászatban vagy élelmezésben  
használható fehérjék hatékony előállítását.

Az MTA állásfoglalása szerint társadalmi vitá-  
ra és tájékoztatásra van szükség az új genomszerkesz-  
tési módszerek – különösen a legelterjedtebb CRISPR  
/Cas9 technológia – lehetőségeiről és esetleges koc-  
kázatairól. Fontos, hogy az új ismeretek az oktatásban  
is helyet kapjanak.