

Авангардный метод геномного редактирования CRISPR/Cas9 успешно применен для коррекции индуцированной серповидноклеточной анемии у мышей (*Sci. Transl. Med.* онлайн-публикация 07 октября 2016 г.)

Группа американских ученых и клиницистов под руководством Джейкоба Корна (Jacob Corn) из Калифорнийского университета Беркли (University of California, Berkeley) провела редактирование мутации, вызывающей серповидноклеточную анемию, в культуре стволовых клеток, выделенных из крови пациентов. Идея эксперимента заключалась в том, что введение большого числа скорректированных клеток сможет облегчить тяжелые осложнения заболевания, которое приводит к анемии, болезненной закупорке кровеносных сосудов и даже смерти. При реинфузии, т.е. обратном вливании больным крови с измененными стволовыми клетками, у них должна была начаться продукция нормального гемоглобина А вместо дефектного гемоглобина S, который обуславливает серпообразную форму эритроцитов, давшую название заболеванию. Авторам удалось повысить эффективность генетической модификации по сравнению с предыдущими подобными экспериментами на 25%. Стволовые клетки с исправленной мутацией по гемоглобину вводили мышам с моделированной серповидноклеточной анемией. Эти клетки циркулировали в кровотоке подопытных животных на протяжении месяцев и действительно обеспечивали продукцию нормального гемоглобина на клинически целесообразном уровне.

Заканчивается эра известной биотехнологии (*пресс-релиз Австрийского исследовательского центра промышленной биотехнологии, ACIB, дата обращения 21 ноября 2016 г.*)

Перемены, которые ожидают биотехнологические исследования и промышленность, стали темой дискуссий на Европейском саммите промышленной биотехнологии (European Summit of Industrial Biotechnology 2016), прошедшем недавно в австрийском Граце.

«Если не будет биотехнологии, мир замрет», – утверждает отчетный документ саммита, размещенный на сайте Австрийского исследовательского центра промышленной биотехнологии (Austrian Research Centre of Industrial Biotechnology). «По-

лученные биотехнологическим путем лекарства преобладают среди препаратов-бестселлеров: восемь из десяти наиболее продаваемых лекарств имеют биотехнологическое происхождение», – сообщил в своем выступлении на саммите профессор Найджел Титченер-Хукер (Nigel Titchener-Hooker) из Университетского колледжа Лондона (University College London).

В рамках программы Еврокомиссии «Horizon 2020» на исследовательские проекты биоэкономического значения, т.е. подразумевающие применение биотехнологии и использующие возобновляемое биологическое сырье, выделяется 3,8 млрд. евро. До 2020 г. на основании стратегического анализа будут направлены дополнительные 3,7 млрд. евро на стимулирование «Европейского биоконсорциума» (European Bioconsortium) – частного-государственного партнерства Еврокомиссии и крупнейших биопромышленников европейских стран, о чем сообщил глава биоконсорциума Дирк Каррез (Dirk Carrez). При таких инвестициях мир биотехнологии может прогрессировать очень быстро, как отмечают эксперты.

Благодаря новым технологиям стоимость продукции не возрастает, а время, затрачиваемое на ее производство, сокращается. Так, применение точной микрофльтрации и поточной хроматографии сокращает соответствующие процессы от нескольких часов до нескольких минут. Более того, по оценкам Титченер-Хукера, перфузионные системы для пропускания кровезамещающих растворов и биологически активных веществ через сосудистую систему органов и тканей организма снижают стоимость соответствующих традиционных процедур на 20%. Это, как он считает, сделает к 2025 г. персонализированную медицину доступной несмотря на вопросы, связанные с клиническими исследованиями и официальными разрешениями.

Среди инструментов для получения современных биотехнологических продуктов медицинского назначения особо важное место занимают клетки яичников китайского хомячка, которые используют для синтеза рекомбинантных белков; разработка систем на основе этих клеток – один из главных приоритетов фармацевтической промышленности. Коренным образом изменились и исследовательские генетические методы: на смену мутагенезу и подавлению экспрессии генов с помощью РНК-интерференции пришел метод редактирования CRISPR/Cas9, сокративший время создания клеточных линий от года до трех месяцев.