

**CRISPR: nożyczki do DNA i nadzieja dla milionów.
Gdzie kończy się nauka, a zaczyna przyszłość?**

Weronika Redlicka, Milena Czajka

Zakład Chemii i Biochemii, Collegium Medicum, Społeczna Akademia Nauk, Łódź

weronikazgierska3@gmail.com

CRISPR-Cas9 to jedno z najbardziej przełomowych odkryć współczesnej biologii. Narzędzie, które pozwala przecinać i edytować DNA z niespotykaną dotąd precyzją. Choć początkowo wykorzystywane w badaniach laboratoryjnych, dziś technologia ta staje się realnym elementem klinicznej terapii. To jednak nie tylko sukces nauki, lecz także początek nowych pytań: gdzie przebiega granica między leczeniem a ingerencją w naturę?

W wystąpieniu omówione zostaną zastosowania CRISPR, które już dziś odmieniają los pacjentów: terapia anemii sierpowatej i beta-talasemii (Casgevy/exa-cel), modyfikacja genu BCL11A w celu przywrócenia hemoglobiny płodowej, czy próby leczenia dziedzicznej ślepoty (EDIT-101), amyloidozy (NTLA-2001) i nowotworów z pomocą komórek CRISPR-CAR-T.

Poruszony zostanie też przypadek niemowlęcia z niedoborem CPS1. Pierwsze zastosowanie CRISPR bezpośrednio w wątrobie, które pokazało, że możliwe jest leczenie „jednym cięciem”. Ale ten sukces stawia też pytania o bezpieczeństwo: czy przypadkowa ingerencja w inne geny (np. supresorowe jak DICER1) może uruchomić nowe choroby? Jak zapewnić kontrolę nad technologią, której potencjał wyprzedza regulacje?

CRISPR wkracza na granicę: z jednej strony przynosi nadzieję milionom chorych, z drugiej zmusza do redefinicji granic terapii, odpowiedzialności i tego, co oznacza „leczenie”. Czy jesteśmy gotowi na medycynę, która nie tylko naprawia geny, ale potencjalnie kształtuje przyszłość człowieka?