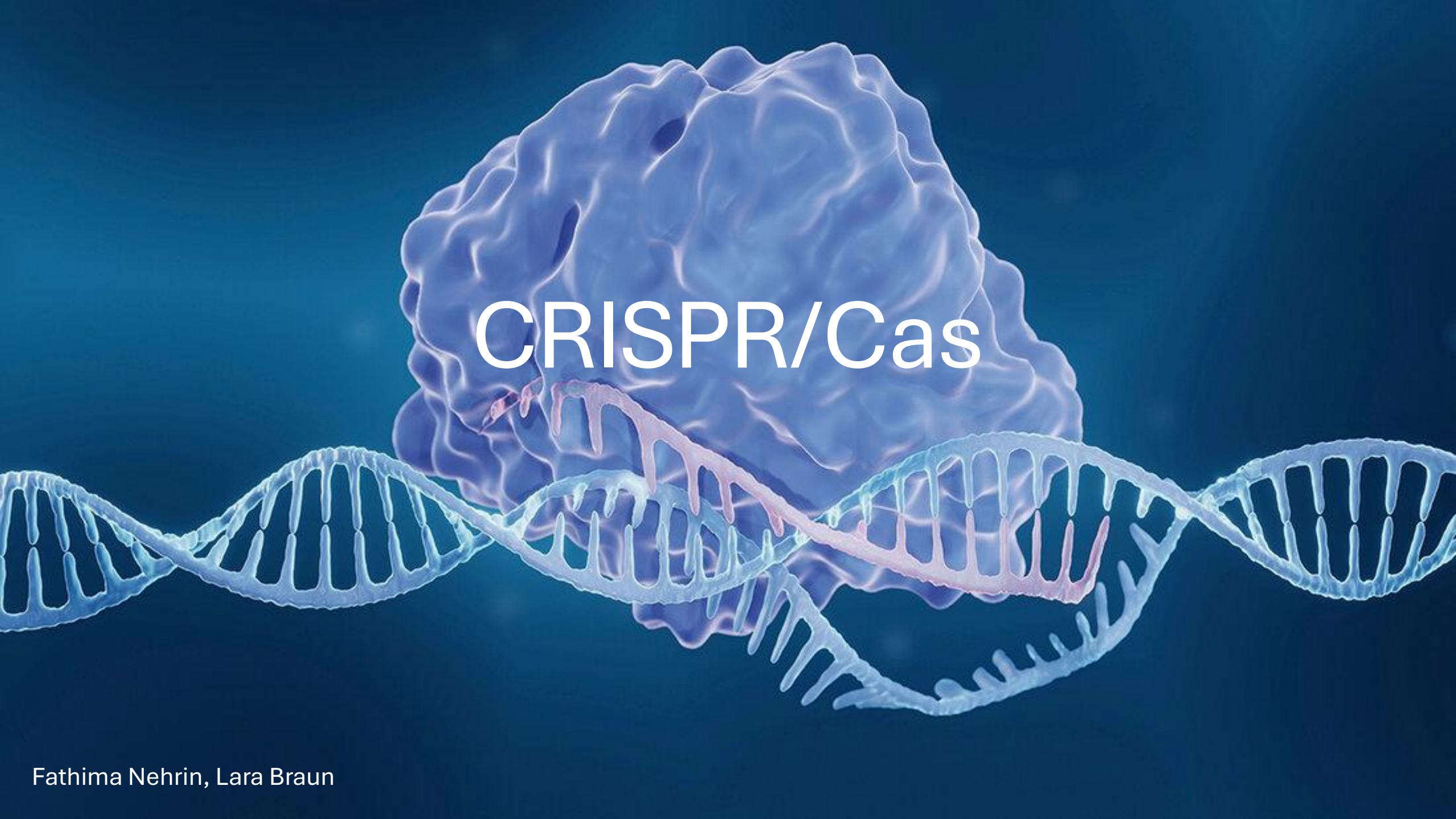
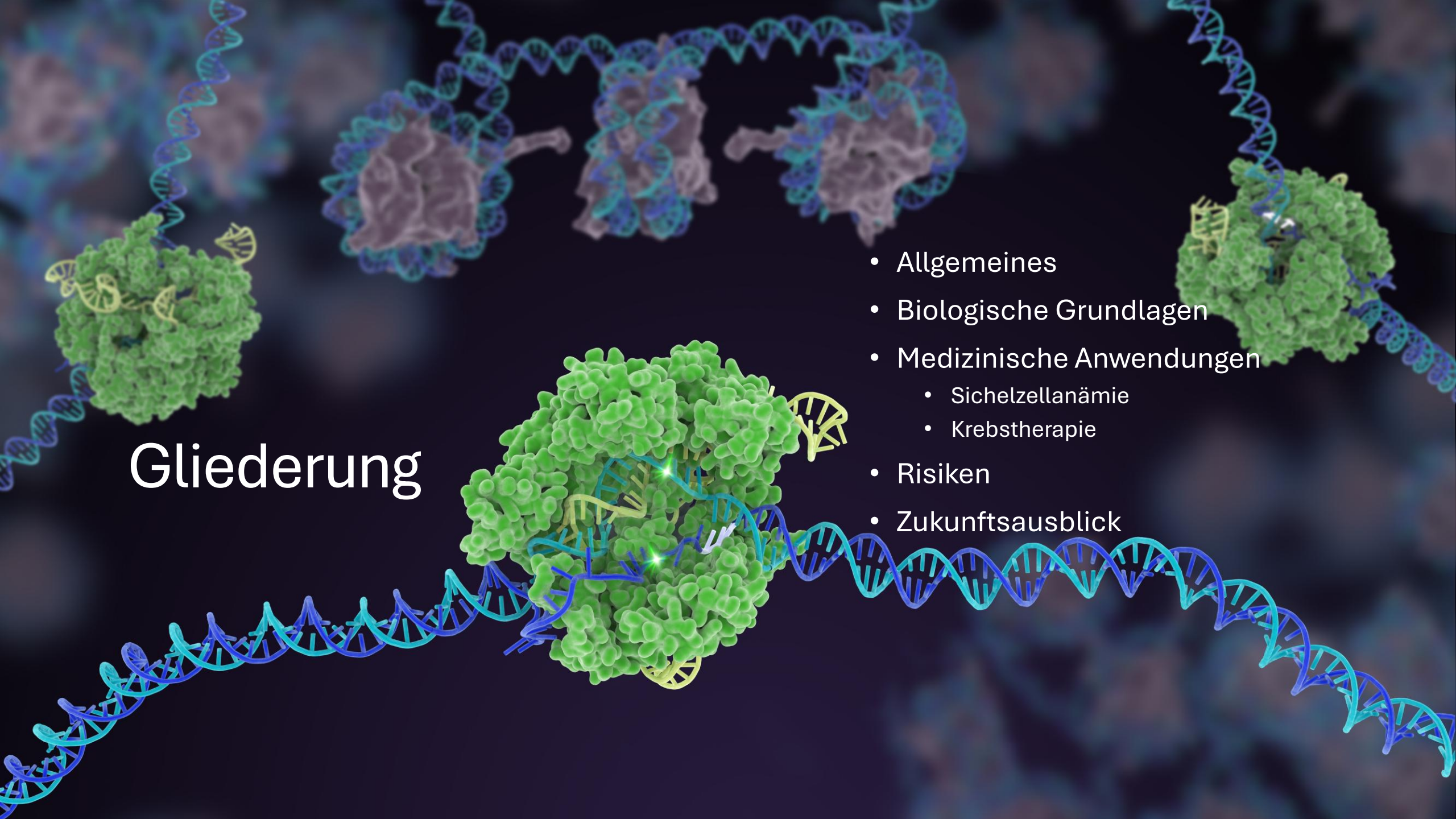


A 3D scientific illustration showing a large, purple, textured protein complex (Cas) positioned over a DNA double helix. The DNA is rendered in light blue and green. A specific segment of the DNA is highlighted in red, indicating the target site for CRISPR/Cas editing. The text "CRISPR/Cas" is overlaid in white on the protein complex.

CRISPR/Cas

Gliederung

The background features a dark blue gradient with several DNA double helix structures in shades of blue and cyan. Interspersed among the DNA are several green, textured, spherical clusters that resemble protein aggregates or viral capsids. Some of these clusters have small yellow DNA segments attached to them.

- Allgemeines
- Biologische Grundlagen
- Medizinische Anwendungen
 - Sichelzellanämie
 - Krebstherapie
- Risiken
- Zukunftsausblick

Allgemeines

- Abwehrsystem der Bakterien
- „Gen-Schere“
- 2020 Nobelpreis für Chemie (Emmanuelle Charpentier und Jennifer Doudna)

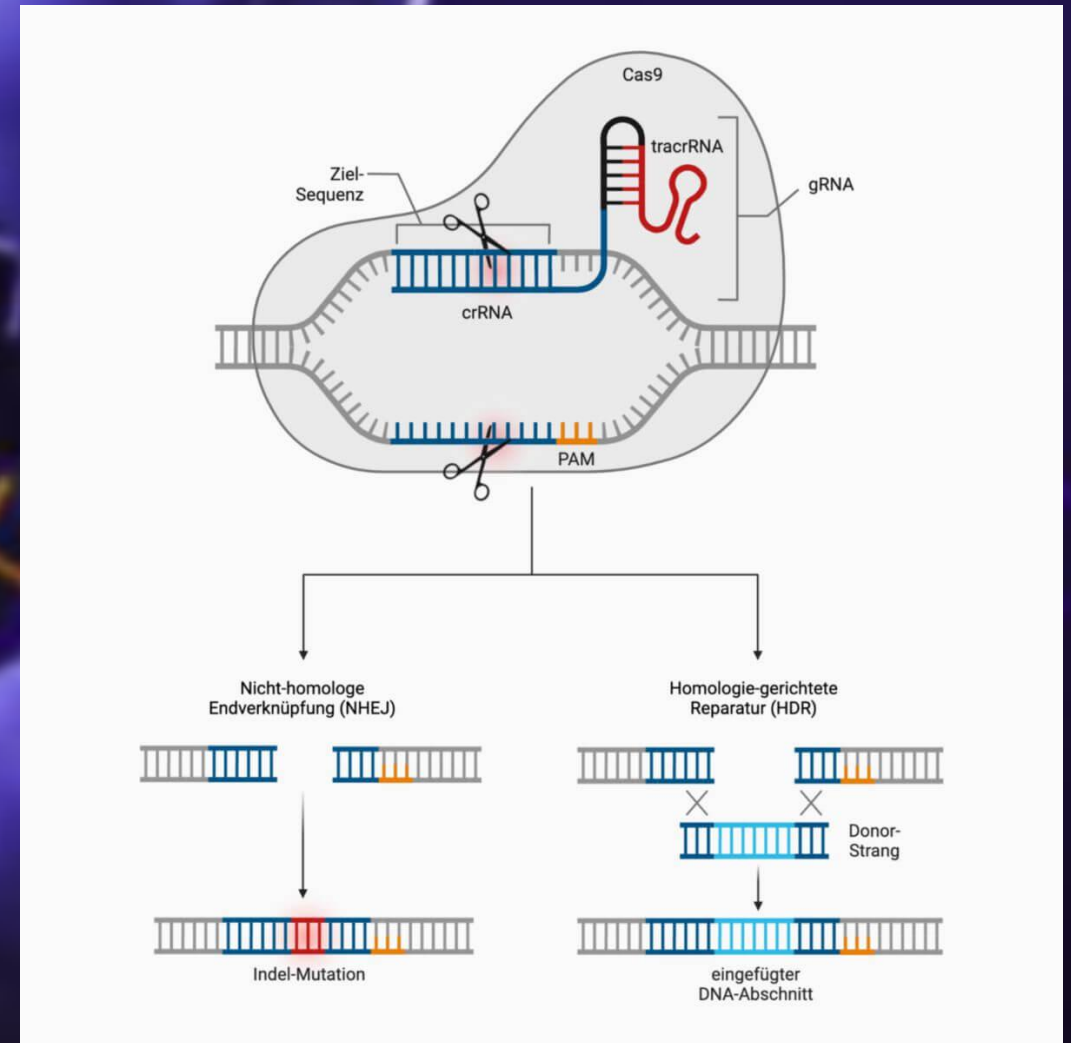
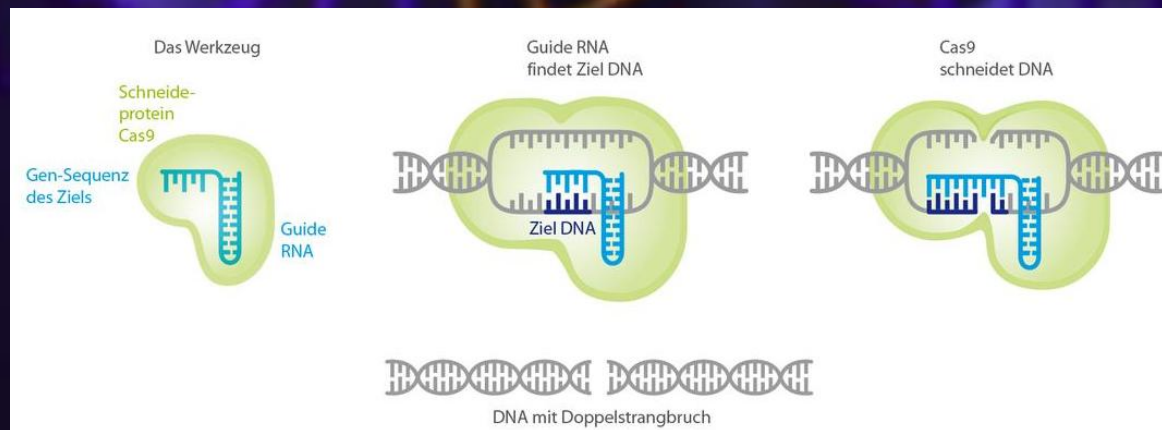


Jennifer Doudna

Emmanuelle Charpentier

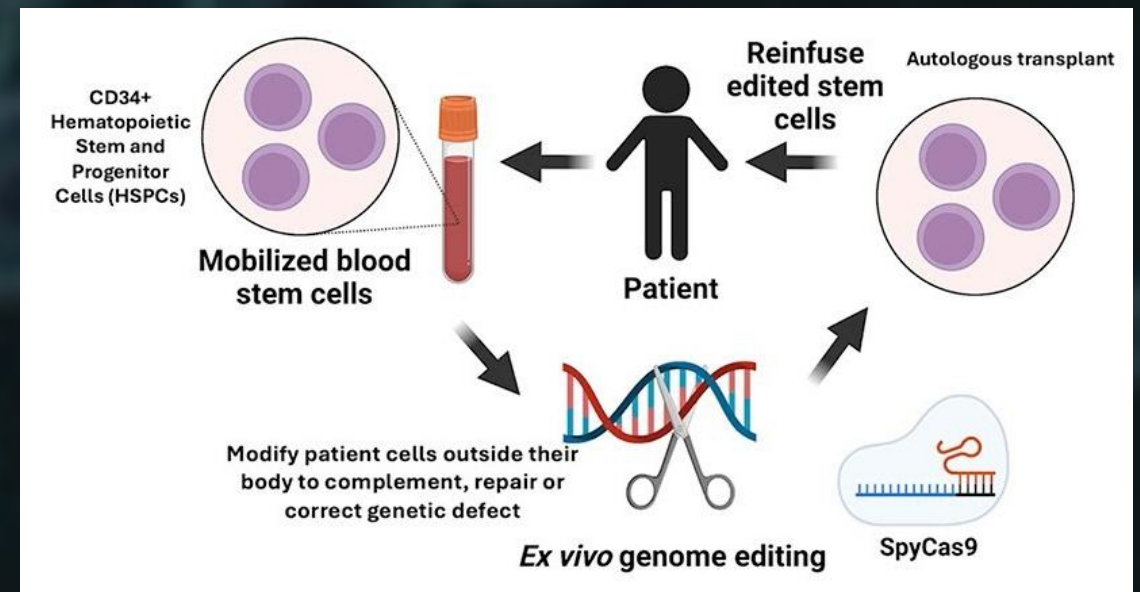
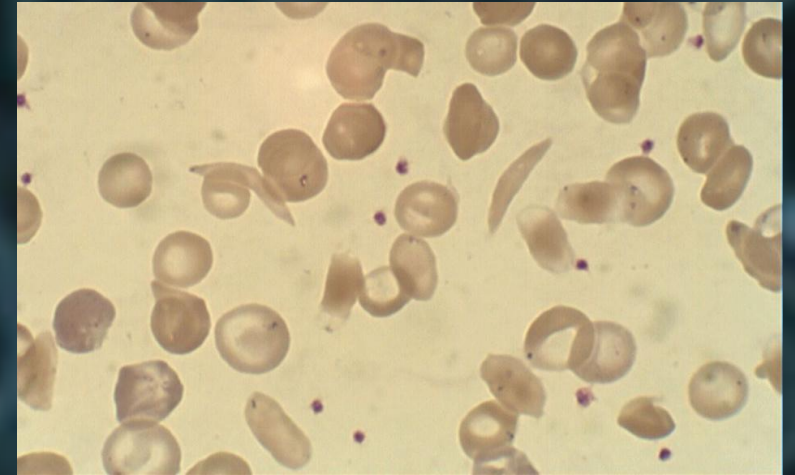
Biologische Grundlagen

- CRISPR: Clustered regularly interspaced short palindromic repeats
- CAS: CRISPR-associated
- tracrRNA: trans-activating CRISPR-RNA
- crRNA: CRISPR-RNA



Sichelzellanämie

- Bisher nur Therapie durch Stammzellentransplantation eines Spenders
- Problem: oft keine passenden Spender
- Neue Möglichkeit: Gentherapeutikum Casgevy
- Einmalige Behandlung
- Allerdings lebenslange Auswirkungen



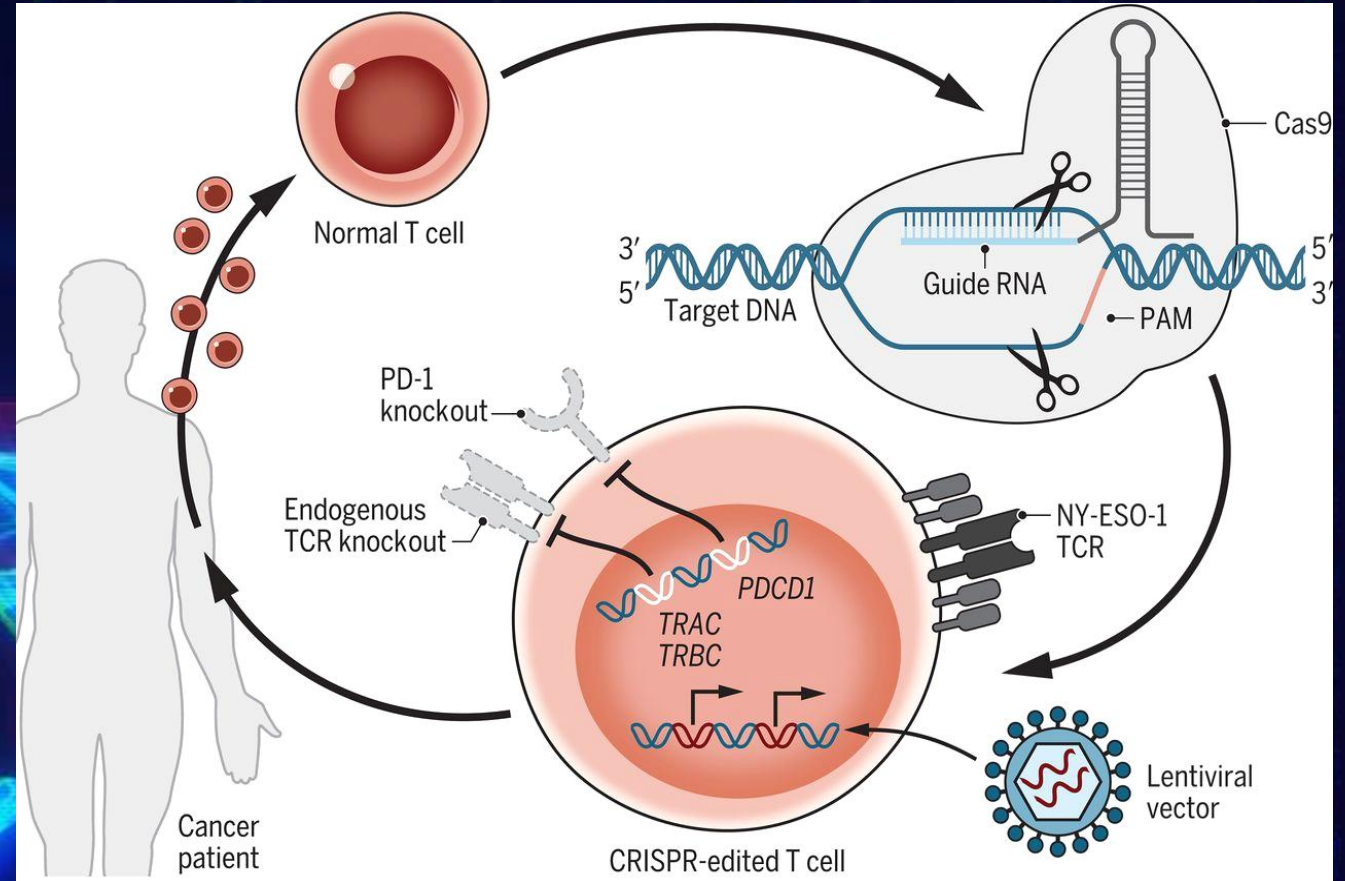
Krebstherapie

Problem: T-Zell-Erschöpfung

- Tumorzellen exprimieren **PD-L1**
- Hemmung der Immunantwort

Lösung durch CRISPR-Cas9

- Knockout des **PDCD1-Gens**
- Keine PD-1-Expression
- Tumor kann CAR-T-Zellen schlechter hemmen



RISIKEN

Off-Target-Effekte

- Cas9 schneidet an unerwünschten DNA- Stellen
- Mögliche Mutationen in anderen Genen

Schwierige Verabreichung

- Begrenzte Effizienz der Vektoren
- Nicht alle Zellen werden erfolgreich editiert

Ethische Fragen

- Keimbahn-Editierung vererbbar
- Möglichkeit von "Designer-Babys"

Zukunftsausblick

1. Präzisere Geneditierung

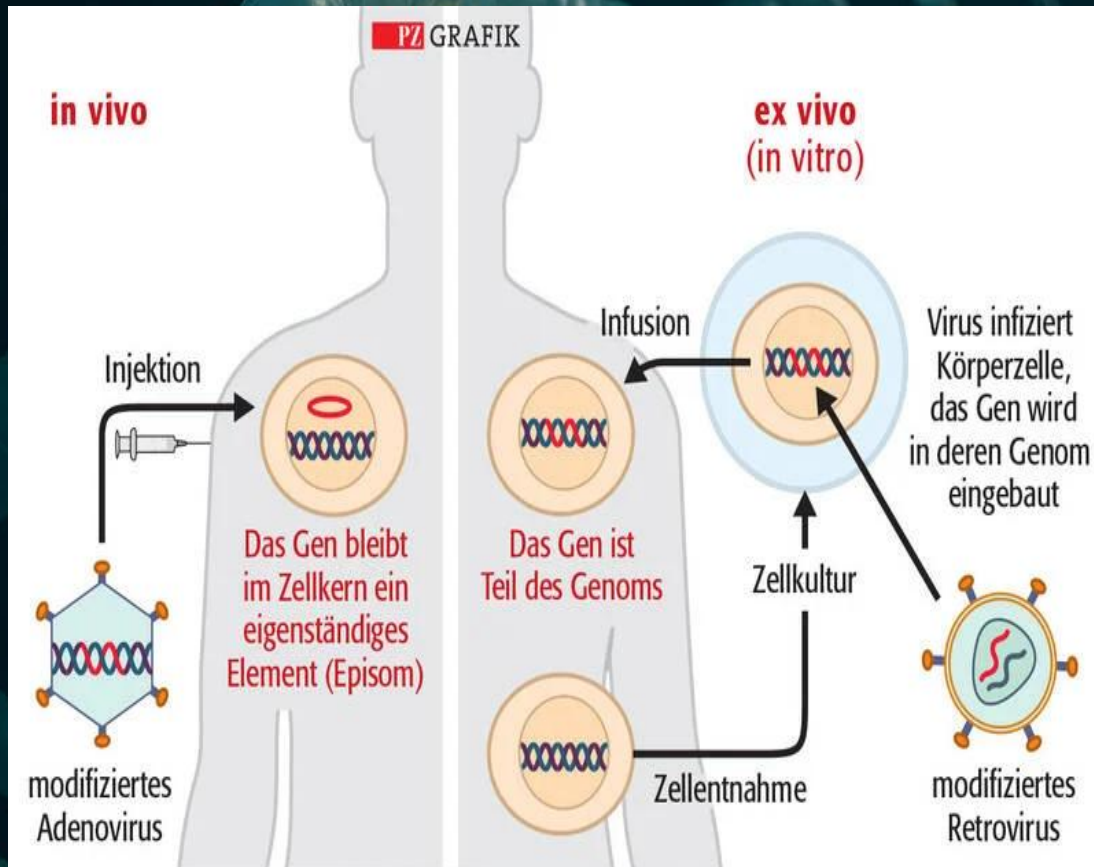
- Entwicklung von *Base Editing* und *Prime Editing*
- Korrektur einzelner Mutationen ohne Doppelstrangbruch
- Reduzierung von Off-Target-Effekten

2. *in vivo* Geneditierung

- Entwicklung neuer Transportsysteme (Lipidnanopartikel, virale Vektoren)
- Gezielte CRISPR-Abgabe in komplexe Organe

3. CRISPR in der Landwirtschaft

- Entwicklung klimaresistenter Nutzpflanzen
- Verbesserte Resistenz gegen Krankheiten und Schädlinge



Quellen

- <https://www.transgen.de/lexikon/1845.crispr-cas.html>
- <https://flexikon.doccheck.com/de/CRISPR/Cas-System>
- <https://www.pharmazeutische-zeitung.de/erste-crisprcas9-gentherapie-auf-dem-markt-152873/seite/alle/?cHash=2c5d4b9aab06330dcd153728040dfa80>
- <https://www.vfa.de/de/forschung-entwicklung/medizinische-biotechnologie/hintergrund/genomchirurgie-crispr-cas>
- <https://www.mpg.de/11032932/crispr-cas9-mechanismus>

Bildquellen

- https://www.mtdialog.de/fileadmin/_processed_/a/1/csm_Titelbild_Historisches_Gen-Schere_f594b9e0e5.jpg
- <https://www.transgen.de/data/media/2473/1200x900f.jpg>
- https://www.biophysics.org/Portals/0/BPSAssets/Blog/2018/Cas9_Iwasa_realistic.jpg
- https://www.genepossibilitieshcp.com/sites/g/files/ayrham126/files/2022-04/Scene2_MoT.png
- https://www.forschung-und-lehre.de/fileadmin/user_upload/Rubriken/Forschung/2025/1-2025/Crispr-Genomeditierung-Illustration_c_mauritius_images_06653013.jpg
- https://dccdn.de/www.doccheck.com/data/en/4j/8q/rn/zc/re/crispr-cas_md.jpg
- <https://www.rnd.de/resizer/v2/AK65SYVOLBBEDOBII3UYPGBXOQ.jpg?auth=439949a49281d4e6584d2d21f8381c2727242f45504b63592295b3da3ed90225&quality=70&focal=615%2C515&width=1441&height=1081>
- https://dccdn.de/www.doccheck.com/data/np/xu/ct/sc/bb/yj/blutausstrich_sichelzellan_mie_md.jpg
- <https://i.ytimg.com/vi/BNP4hnMmQUw/maxresdefault.jpg>



Vielen Dank
für ihre Aufmerksamkeit