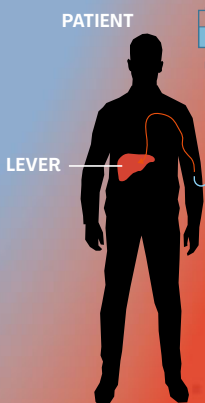


Gensaxen verkar i levern

Skeletjesjukan beror på en mutation som gör att celler i levern tillverkar en skadlig variant av proteinet transtyretin. Ett experimentellt läkemedel baserat på den så kallade gensaxen tar bort proteinet.

AV JOHAN JARNESTAD OCH PER SNAPRUD

1 Patienten får dropp med nanopartiklar, pyttesmå fett droppar. I varje droppe finns den så kallade gensaxen som består av två komponenter: dels ett arvsanlag för det klippande enzymet Cas9, dels en bit guide-rna som matchar dna-koden där klipppet ska göras.



2 Nanopartiklarnas yta är utrustad med ett protein (ApoE). Proteinets fäster vid speciella receptorer utanpå levercellen. Följden blir att cellen slukar nanopartiklarna.

BLODKÄRL

3 Inuti cellen släpper nanopartikeln ut sin last. Cellen tillverkar det klippande enzymet enligt den genetiska ritningen. Enzymet fångar sedan in en bit guide-rna. Resultatet: en målsökande gensax.

4 Gensaxen glider runt på kromosomen tills den hittar sitt mål, genen för proteinet transtyretin. Där gör den ett klipp. När cellen försöker laga dna-molekylen uppstår en förskjutning i den genetiska koden. Förskjutningen gör så att cellen inte längre kan tillverka transtyretin.

