

कस्टमाइज़्ड बेस एडिटिंग का पहला सफल प्रयोग

[स्रोत: इंडियन एक्सप्रेस](#)

चर्चा में क्यों?

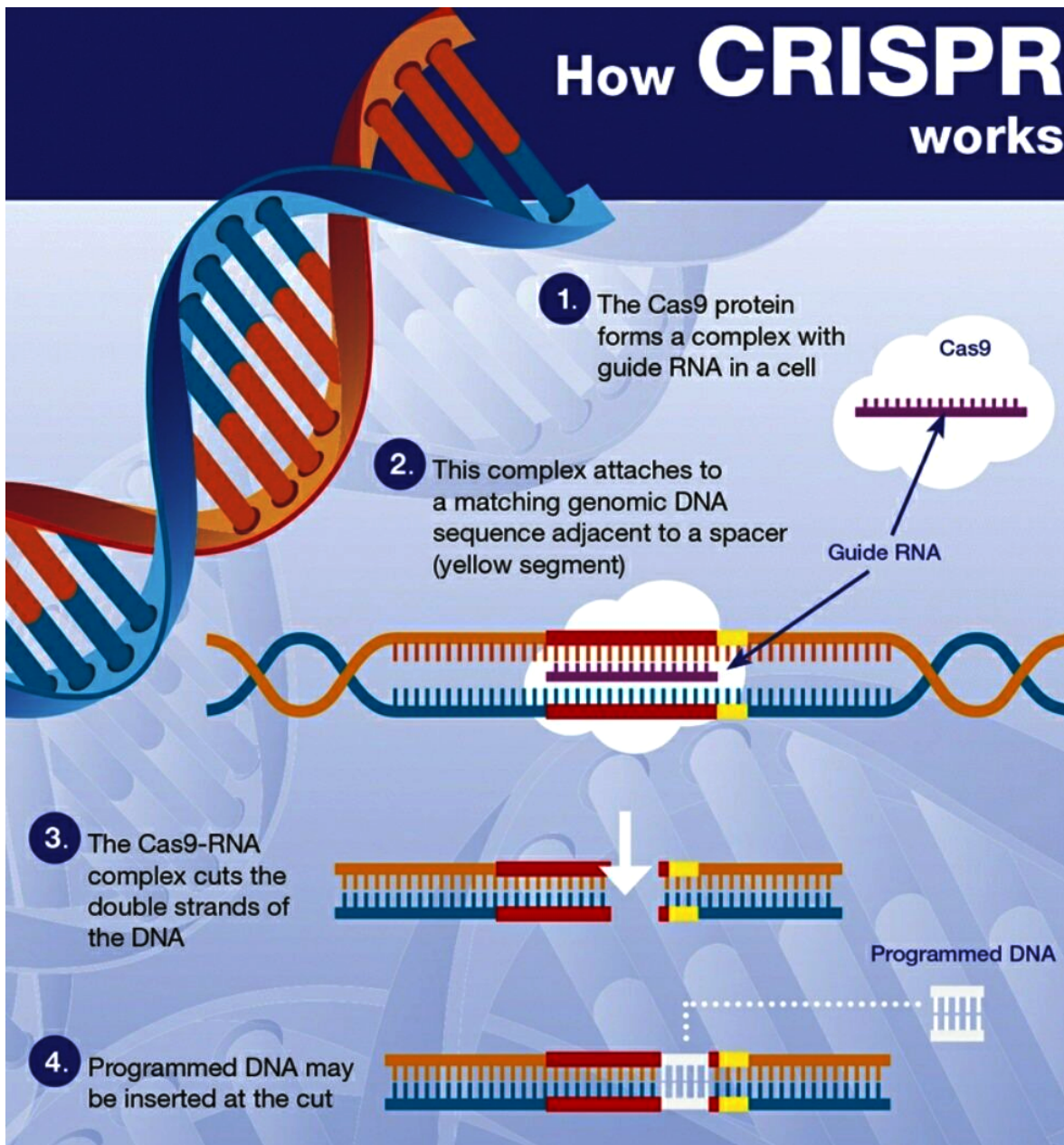
अमेरिका में वैज्ञानिकों ने पहली बार एक शिशु में **CPS1** की कमी नामक [दुर्लभ आनुवंशिक विकार](#) के उपचार के लिये **CRISPR** आधारित [जीन-एडिटिंग](#) चिकित्सा का सफलतापूर्वक उपयोग किया है।

- **CPS1 की कमी** एक दुर्लभ चयापचयी विकार है, जिसमें यकृत प्रोटीन चयापचय के उपोत्पादों को प्रभावी रूप से संसाधित नहीं कर पाता, जिससे शरीर में अमोनिया का वषिकृत स्तर जमा हो जाता है।

जीन एडिटिंग थेरेपी क्या है?

- **परिचय:** जीन-एडिटिंग थेरेपी एक चिकित्सीय पद्धति है, जिसमें [DNA](#) को सटीक रूप से संशोधित कर आनुवंशिक दोषों को ठीक करने, रोगों का उपचार करने या जैविक कार्यों को बेहतर बनाने का प्रयास किया जाता है।
 - सबसे व्यापक रूप से इस्तेमाल किया जाने वाला उपकरण [CRISPR-Cas9](#) है, जो [वशिष्ट जीन को काटने और संपादित करने](#) के लिये [आणविक कैंची \(molecular scissors\)](#) की तरह कार्य करता है।
- **अनुप्रयोग:** आनुवंशिक विकारों का उपचार जैसे, [सकिल सेल एनीमिया](#), [कैंसर इम्यूनोथेरेपी](#) जैसे, [CAR T-सेल थेरेपी](#) और कृषिउपयोग जैसे, [सूखा प्रतिरोधी फसलें](#)।
- **जीन संपादन के लिये प्रयुक्त उपकरण:** **CRISPR-Cas9** प्रौद्योगिकी जीन संपादन के लिये एक शक्तिशाली और सटीक उपकरण है, जो वैज्ञानिकों को जीवों के अंदर [वशिष्ट स्थानों पर DNA को काटने और संशोधित करने](#) की अनुमति देता है।
 - यह दोषपूर्ण **DNA** का पता लगाने और उसे काटने के लिये [गाइड RNA](#) का उपयोग करता है, जिससे वैज्ञानिकों को [कोशकीय मरम्मत](#) के लिये इसे [सही अनुक्रम](#) के साथ बदलने में मदद मिलती है।
- **TALENs और ZFNs:** [ट्रांसक्रिप्शन एक्टिवेटर-लाइक इफेक्टर न्यूक्लियेसिस \(TALENs\)](#) और [ज़कि फगिर न्यूक्लियेसिस \(ZFNs\)](#) पुरानी प्रौद्योगिकियाँ हैं, जो लक्षित DNA संशोधन की भी अनुमति देती हैं।

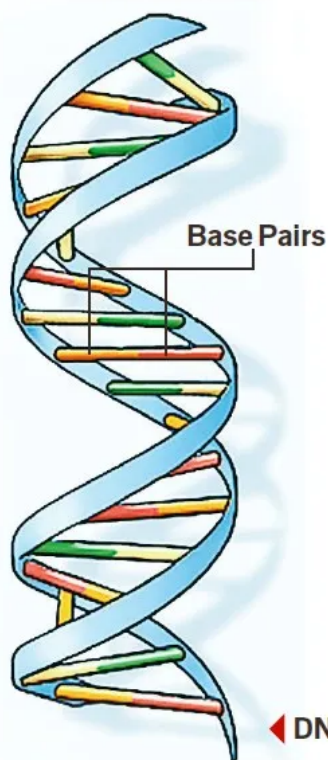
How CRISPR works



बेस एडिटिंग पारंपरिक जीन एडिटिंग से कसि प्रकार भिन्न है?

- **बेस एडिटिंग: CRISPR-Cas9 के विपरीत**, जो DNA में डबल-स्ट्रैंड ब्रेक बनाता है, बेस एडिटिंग दोनों DNA स्ट्रैंड को काटे बिना एक DNA बेस को दूसरे में सीधे, सटीक रूप से परिवर्तित करने की अनुमति देती देता है।
 - इससे अनपेक्षित उत्परिवर्तन का जोखिम कम हो जाता है और सटीकता में सुधार होता है।
- **क्रियाविधि:** बेस एडिटिंग तकनीक एक बेस परिवर्तक एंजाइम को Cas9 प्रोटीन के साथ जोड़कर कार्य करती है, जो विशिष्ट आधारों (जैसे दोषपूर्ण साइटोसिन् को थाइमिन् में बदलना) को परिवर्तित करती है और इस प्रकार आनुवंशिक रोगों के कारण बनने वाले दोषों को ठीक करती है।
- **सटीकता:** बेस एडिटिंग की तुलना टाइपिंग की गलती को ठीक करने के लिये कैची और गोंद के स्थान पर सिलि इरेज़र का उपयोग करने से की जा सकती है, जिससे अधिक सुरक्षा एवं लक्ष्य आनुवंशिक सुधार संभव हो जाता है।
 - वैज्ञानिकों ने **CPS1** की कमी का कारण बनने वाले गलत युग्मन बेस की पहचान की तथा DNA में उसका सटीक पता लगाने और उसे ठीक करने के लिये बेस एडिटर का उपयोग किया।
 - इस व्यक्तिगत उपचार ने वंशिक अमोनिया के संचयन को समाप्त कर दिया, जो बेस एडिटिंग का पहला ज्ञात सफल मानव मामला था।

THE ABCs OF DNA: A GLOSSARY



BASE: A biological compound which bonds with another base to help form DNA and RNA

DNA: A molecule that carries the genetic instructions used in the development and functioning of living organisms



Adenine Thymine

DNA SEQUENCE: The specific order of the four bases in a DNA molecule

GENOME: An organism's complete set of genetic instructions, encoded in its DNA

RNA: DNA's cousin which makes crucial products such as proteins



Guanine Cytosine

◀ DNA is a double-stranded helix

UPSC सविलि सेवा परीक्षा, वगित वर्ष के प्रश्न (PYQ)

????????

प्रश्न. प्रायः समाचारों में आने वाला Cas9 प्रोटीन क्या है? (2019)

- (a) लक्ष्य-साधति जीन संपादन (टारगेटेड जीन एडिटिंग) में प्रयुक्त आणविकि कैची
- (b) रोगियों में रोगजनकों की ठीक-ठाक पहचान के लिये प्रयुक्त जैव संवेदक
- (c) एक जीन, जो पादपों को पीड़क-प्रतिरौधी बनाता है
- (d) आनुवंशिकित: रूपांतरित फसलों में संश्लेषति होने वाला एक शाकनाशी पदार्थ

उत्तर: (a)