

INHALT

6 PORTRÄT

DIE WEGBEREITERIN

Jahrelang zog Emmanuelle Charpentier von Ort zu Ort und forschte still vor sich hin. Dann veränderte die Entdeckung des CRISPR-Cas-Systems ihr Leben radikal.

Von Alison Abbott

11 NOBELPREIS FÜR CHEMIE

ZWISCHEN PATENTSTREIT UND ETHIKDEBATTE

2020 ging der Chemie-Nobelpreis an Jennifer Doudna und Emmanuelle Charpentier – eine absehbare Entscheidung, die dennoch Stoff für Kontroversen birgt.

Von Lars Fischer

14 ZELLKERN

DIE ENTWIRRUNG DES GENOMS

Mit Hilfe tausender DNA-Schleifen reguliert die Zelle ihre Genaktivität.

Von Erez Lieberman Aiden

22 ADENO-ASSOZIIERTE VIREN

BESSERE VERPACKUNG FÜR DNA-PAKETE

Künstlich veränderte Viren sollen helfen, Genmaterial in Körperzellen einzuschleusen, um so Erbkrankheiten zu behandeln.

Von Neil Savage

26 IMMUNOLOGIE

ANLEITUNG ZUM SELBSTSCHUTZ

Den genetischen Bauplan für Antikörper in menschliche Zellen zu verfrachten, könnte vor verschiedenen Krankheiten schützen.

Von Amanda Keener

30 ANTISENSE-THERAPIEN

HEILSAME MOLEKÜLSCHNIPSEL

Lange fristeten Behandlungen per Antisense-Oligonukleotide ein Schattendasein, doch inzwischen erzielen sie beachtliche medizinische Erfolge. Allerdings haben sie ihren Preis.

Von Lydia Denworth

38 **LATERALSKLEROSE**
GEFÜRCHTETE NERVENKRANKHEIT

ALS ist ein degeneratives, bislang unheilbares Nervenleiden. Neue Techniken enthüllen die genetischen Ursachen und liefern Therapieansätze.

Von Aaron D. Gitler und Leonard Petrucelli

44 **SCHIZOPHRENIE**
DIE STECKNADEL IM GENHAUFEN

Trotz aufwändiger Studien fand sich bislang kein einzelner Erbfaktor für Schizophrenie. Die Umwelt mischt offenbar stärker mit als gedacht.

Von Michael Balter

52 **MUTATIONEN**
MITNICHTEN TÖDLICH

Zehntausende menschliche Genome liegen heute sequenziert vor. Und es zeigt sich: Vermeintlich krank machende Erbgutveränderungen sind oft harmlos.

Von Erika Check Hayden

58 **PRIONEN**
WETTLAUF GEGEN DIE ZEIT

Gefährdete Personen bereits behandeln, solange sie noch gesund sind: Mit dieser Strategie möchte das Autorenpaar eine tödliche Hirnerkrankung verhindern.

Von Sonia Minikel Vallabh und Eric Vallabh Minikel

64 **GEHÖRLOSIGKEIT**
GENTHERAPIE GEGEN HÖRSCHÄDEN

Forscher wollen eine bestimmte Form der Schwerhörigkeit gentherapeutisch behandeln.

Von Dina Fine Maron

72 **HAUTERSATZ**
EINE NEUE HÜLLE

Wenn das größte Organ unseres Körpers schwer erkrankt, hat das oft fatale Folgen.

Von Kat Arney

76 **GYNÄKOLOGIE**
REPARATUR IN DER GEBÄRMUTTER

Einige Erbkrankheiten schädigen bereits den Fötus im Mutterleib. Womöglich könnte eine vorgeburtliche Gentherapie helfen.

Von Sarah DeWeerd

3 EDITORIAL

25 IMPRESSUM

82 VORSCHAU