Scientific-Research Quarterly Journal of Medical Science Of
Khatam Al-Nabieen University
Volume 9, Issue 16, Summer 2024

The Role and Impact of CRISPR-Cas9 Gene Editing in the Treatment of Genetic Diseases: Challenges and Perspectives

Dawood Hossaini[1*]

Department of Biology and Microbiology, Faculty of Medical Laboratory Technology, Khatam Al-Nabieen University, Kabul, Afghanistan
*Email: dawoodhossaini75@gmail.com Phone: 0705161490

Abstract

Introduction: CRISPR-Cas9 gene editing technology has emerged as one of the most advanced biotechnological tools with significant potential for treating genetic diseases. This review examines the efficacy, challenges, and future prospects of this technology in the treatment of genetic disorders.

Methods: Relevant articles on CRISPR-Cas9 were retrieved from reputable databases, including PubMed, Springer, and Nature. Selection criteria included publication in high-impact journals between 2014 and 2024 and a focus on the application of this technology in genetic diseases. The collected data were analyzed and compared based on mechanisms of action, laboratory and clinical outcomes, and existing challenges.

Results: CRISPR-Cas9 has demonstrated its ability to correct defective genes in disorders such as Duchenne muscular dystrophy, sickle cell anemia, and beta-thalassemia. Studies indicate that this technology has been successful in restoring muscle function and increasing healthy hemoglobin levels. Additionally, in hereditary cancers such as lung and breast cancer, CRISPR has been used to suppress tumor-promoting genes, leading to tumor growth reduction in animal models. However, several challenges remain, including off-target effects, delivery system limitations, and ethical and regulatory concerns, which restrict its widespread clinical application.

Conclusion: As a revolutionary genome-editing tool, CRISPR-Cas9 holds the potential to fundamentally transform the treatment of genetic diseases. Future advancements in enhancing precision, minimizing side effects, and addressing ethical dilemmas could pave the way for its broader clinical adoption. This technology offers promising prospects for personalized medicine and genome-based therapies.

Keywords: CRISPR-Cas9, Gene Editing, Genetic Diseases, Cancer.

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

فصلنامه علمی-پژوهشی علوم طبی
دانشگاه خاتم‌النبیین(ص)
سال نهم، شماره شانزدهم، تابستان ۱۴۰۳
صفحه ۵۷ - ۴۹

نقش و تاثیر ویرایش جنی کریسپر-کس ۹ در تداوی امراض جنتیکی: چالش‌ها و چشم اندازها

داود حسینی[1*]
دیپارتمنت بیولوژی و میکروبیولوژی، دانشکده تکنالوژی طبی، دانشگاه خاتم النبیین (ص)، کابل، افغانستان،
*ایمیل: dawoodhossaini75@gmail.com تلفن: ۰۷۰۵۱۶۱۴۹۰

چکیده

مقدمه: فناوری ویرایش جنی کریسپر-کس ۹ به عنوان یکی از ابزارهای پیشرفته زیست‌فناوری، پتانسیل قابل توجهی برای تداوی امراض جنتیکی دارد. این مطالعه مروری به بررسی اثربخشی، چالش‌ها و چشم‌اندازهای آینده این فناوری در تداوی امراض جنتیکی می‌پردازد.

روش کار: مقالات مرتبط با کریسپر-کس۹ از پایگاه‌های اطلاعاتی معتبر شامل PubMed، Springer و Nature بررسی شدند. معیار انتخاب مقالات، انتشار در مجلات معتبر بین سال‌های ۲۰۱۵ تا ۲۰۲٤ و تمرکز بر کاربرد این فناوری در امراض جنتیکی بود. اطلاعات گردآوری‌شده از جنبه‌های مکانیزم عمل، نتایج لابراتواری و کلینکی، و چالش‌ها، تحلیل و مقایسه شدند.

نتایج: کریسپر-کس۹ توانایی اصلاح جن‌های معیوب را در امراض و اختلالات مانند دیستروفی عضلانی دوشن، کم‌خونی داسی‌شکل و تالاسمی بتا دارد. مطالعات نشان می‌دهند که این فناوری در بازیابی عملکرد عضلات و افزایش هموگلوبین سالم، موفق بوده است. همچنین در تداوی سرطان‌های ارثی مانند سرطان ریه و پستان، با مهار جن‌های محرک تومور، کاهش رشد تومور را در مدل‌های حیوانی نشان داده است. با این حال، چالش‌هایی مانند ویرایش‌های خارج از هدف، مشکلات تحویل ابزار و مسائل اخلاقی و قانونی محدودیت‌هایی را برای استفاده از این فناوری ایجاد کرده است.

بحث و نتیجه‌گیری: کریسپر-کس۹ به عنوان یک ابزار تحول‌آفرین در ویرایش جینوم، پتانسیل تغییر بنیادین در تداوی امراض و اختلالات جنتیکی را دارد. پیشرفت‌های آینده در بهبود دقت، کاهش اثرات جانبی، و حل چالش‌های اخلاقی می‌تواند راه را برای استفاده گسترده از این فناوری در کلینیک فراهم سازد.

واژه‌های کلیدی: کریسپر-کس۹، ویرایش جن، امراض جنتیکی، سرطان.

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

۱. مقدمه

ویرایش جنی با استفاده از سیستم کریسپر-کس ۹ (CRISPR-Cas9) به عنوان یکی از جدیدترین فناوری‌های بیولوژیکی، انقلابی در تداوی امراض جنتیکی ایجاد کرده است. این سیستم که در اصل به عنوان یک ابزار دفاعی در برابر وایروس‌ها در باکتری‌ها تکامل یافته است، اکنون به ابزاری کارآمد و دقیق برای ویرایش جن‌ها در موجودات یوکاریوتی تبدیل شده است (۱, ۲). این فناوری به محققان اجازه می‌دهد تغییرات خاصی در جنوم ایجاد کرده و امراض جنتیکی را در سطح مالیکولی تداوی کنند. از مهم‌ترین امراض می‌توان به دیستروفی عضلانی دوشن، کم‌خونی داسی‌شکل، و برخی از سرطان‌های ارثی اشاره کرد (۱, ۳, ٤). امراض جنتیکی که به دلیل تغییرات در توالی DNA ایجاد می‌شوند، بار سنگینی بر سیستم صحی و اقتصادی جهانی وارد می‌کنند. بر اساس گزارش سازمان جهانی صحت، سالانه میلیون‌ها نفر در سراسر جهان با اختلالات جنتیکی متولد می‌شوند که تداوی بسیاری از آن‌ها همچنان چالش‌برانگیز باقی مانده است (۵, ٦). با توجه به اینکه تداوی‌های کنونی مانند جن‌درمانی و روش‌های دوایی عموما پرهزینه و گاه با عوارض جانبی قابل توجه همراه هستند، فناوری‌هایی نظیر کریسپر -کس ۹ می‌تواند جایگزین کارآمد و کم‌هزینه در زمینه باشد (۷, ۸). شیوع امراض و اختلالات جنتیکی در مناطق مختلف جهان به‌دلیل تفاوت‌های جغرافیایی،جنتیکی و عوامل محیطی متفاوت است. این تفاوت‌ها نه تنها در نوع اختلال بلکه در میزان شیوع آن‌ها نیز قابل مشاهده است. به عنوان مثال، بتا تالاسمی، یکی از شایع‌ترین اختلالات جنتیکی تک‌جنی، در مناطق مدیترانه‌ای، خاورمیانه و جنوب شرق آسیا به دلیل توزیع گسترده جهش‌های مرتبط با این اختلال، بسیار شایع است. این جهش‌ها به طور عمده به علت انتخاب طبیعی در برابر مالاریا در این مناطق حفظ شده است. در مقابل، فیبروز کیستیک که یک اختلال مرتبط با جهش در جن CFTRاست، بیشتر در جمعیت‌های اروپایی به دلیل پیشینه جنتیکی و انتخاب طبیعی در این مناطق مشاهده می‌شود. این الگوهای شیوع، تأکید بر نیاز به روش‌های تداوی اختصاصی دارد که بر اساس نیازهای جنتیکی خاص هر منطقه طراحی شوند. به عنوان مثال، در مناطقی که بتا تالاسمی شایع است، توسعه تداوی‌های مبتنی بر جن برای اصلاح جهش‌های خاص جن بتا-گلوبین اهمیت بسیاری دارد. تحقیقات اخیر نشان داده است که فناوری کریسپر -کس ۹ به عنوان یک ابزار ویرایش جنی دقیق، می‌تواند در این راستا بسیار موثر باشد (۹, ۱۰). فناوری کریسپر -کس ۹ توانایی شناسایی و اصلاح جهش‌های بیماری‌زا در جنوم انسان را دارد. به عنوان مثال، در مریضان مبتلا به بتا تالاسمی، این سیستم می‌تواند با هدف‌گیری جهش‌های خاص، بیان جن بتا-گلوبین را بازگرداند و یا از تکنیک‌های افزایش تولید جن گاما-گلوبین برای جایگزینی عملکرد جن معیوب استفاده کند. مطالعات نشان داده‌اند که استفاده

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

از کریسپر -کس ۹ در حجرات بنیادی خون‌ساز مریضان، قادر است تولید هموگلوبین طبیعی را بازیابی کند و نیاز به تزریق مکرر خون را کاهش دهد. در مورد فیبروز کیستیک، که بیشتر در جمعیت‌های اروپایی شایع است، جهش دلتا F508 یکی از رایج‌ترین جهش‌ها در جن CFTR است. تداوی این افراد با استفاده از کریسپر -کس ۹ شامل ویرایش مستقیم جن معیوب یا افزایش عملکرد جن‌های جبرانی برای بهبود عملکرد پروتئین CFTR است. مطالعات اخیر نشان داده‌اند که استفاده از این فناوری در مدل‌های حیوانی و آزمایشات حجروی، می‌تواند مسیرهای تداوی نوینی برای این اختلال فراهم کند. این موفقیت‌ها گامی رو به جلو در توسعه تداوش‌های شخصی‌سازی‌شده است که بر اساس نیازهای جنتیکی هر جمعیت طراحی می‌شوند (۱, ۱۱, ۱۲). اگرچه فناوری کریسپر-کس ۹ پتانسیل فوق‌العاده‌ای در تداوی اختلالات جنتیکی دارد، اما چالش‌هایی نیز پیش روی محققان قرار دارد. از مهم‌ترین این چالش‌ها می‌توان به مشکلات معافیتی، دقت و بروز اثرات ناخواسته در ویرایش جنوم اشاره کرد (۲, ۱۳, ۱٤). علاوه بر این، مسائل اخلاقی و حقوقی مرتبط با ویرایش جنتیکی انسان همچنان به عنوان موانعی اساسی مطرح هستند (۱۵). با وجود این، پیشرفت‌های اخیر در طراحی نسخه‌های پیشرفته‌تر از سیستم کریسپر، از جمله Cas12 و Cas13، نشانگر پیشرفت‌های امیدبخش در کاهش این محدودیت‌ها است (۳, ۱۰, ۱٤). بررسی مطالعات مرتبط نشان می‌دهد که تحقیقات گسترده‌ای در زمینه کاربرد کریسپر-کس ۹ در تداوی اختلالات جنتیکی انجام شده است. به عنوان مثال، مطالعه‌ای در سال ۲۰۲۳ نشان داد که استفاده از این فناوری برای اصلاح جهش‌های بیماری‌زا در هانتینگتون موفقیت‌آمیز بوده است. همچنین، با استفاده از کریسپر-کس ۹ به تداوی اختلالات خونی مانند کم‌خونی داسی‌شکل و تالاسمی پرداخته‌اند که نتایج امیدوارکننده‌ای ارائه داده‌اند (٦, ۱۱). این مطالعه به بررسی نقش و تأثیر کریسپر-کس ۹ در تداوی امراض و اختلالات جنتیکی و تحلیل چالش‌ها و چشم‌اندازهای پیش رو می‌پرداخت. نتایج این پژوهش می‌تواند به محققان در بهبود کاربردهای این فناوری در طب و بهبود کیفیت زندگی افراد مبتلا کمک کند.

۲. روش کار

این مطالعه مروری با هدف بررسی جامع نقش و تأثیر سیستم ویرایش ژنی کریسپر-کس ۹ در تداوی امراض و اختلالات جنتیکی و تحلیل چالش‌ها و چشم‌اندازهای مرتبط انجام می‌شود. روش کار شامل مراحل زیر است:

۲-۱. جمع‌آوری اطلاعات: مقالات علمی منتشرشده بین سال‌های ۲۰۱٤ تا ۲۰۲۳ از پایگاه‌های اطلاعاتی معتبر شامل PubMed، Springer، Nature، و ScienceDirect جمع‌آوری شدند. کلیدواژه‌های مورد استفاده شامل "CRISPR-

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

"Cas9"، "ویرایش جنی"، "امراض جنتیکی"، "چالش‌ها" و "چشم‌اندازها" بود.

۲-۲. انتخاب مقالات: مقالات انتخاب شده بر اساس ارتباط با موضوع، کیفیت علمی، و تأثیرگذاری نتایج آن‌ها بررسی و انتخاب شدند. اولویت به مقالات مروری و تحقیقات اصلی داده شد که در مجلات با ضریب تأثیر بالا منتشر شده‌اند.

۲-۳. تحلیل و دسته‌بندی اطلاعات: اطلاعات جمع‌آوری شده در سه بخش اصلی: ۱) کاربردهای کریسپر-کس ۹ در تداوی امراض جنتیکی، ۲) چالش‌های فنی و اخلاقی مرتبط با استفاده از این فناوری و ۳) پیشرفت‌های اخیر و چشم‌اندازهای آینده در توسعه کریسپر-کس ۹ دسته‌بندی شدند.

۲-٤. مرور انتقادی: مقالات منتخب به صورت انتقادی مرور شده و نقاط قوت و ضعف هر تحقیق مشخص شد. همچنین، نتایج مقالات مختلف با یکدیگر مقایسه شدند تا نقاط مشترک و تضادهای موجود شناسایی شوند.

۳. نتایج و بحث

فناوری کریسپر-کس ۹، به دلیل دقت بالا و توانایی اصلاح توالی‌های جنتیکی هدفمند، به یکی از ابزارهای اصلی تداوی امراض و اختلالات جنتیکی تبدیل شده است. مطالعات متعددی اثربخشی این فناوری را در تداوی امراض مختلف اثبات کرده‌اند. برای مثال، تحقیقاتی که در زمینه دیستروفی عضلانی دوشن انجام شده است، نشان داده‌اند که کریسپر می‌تواند جهش‌های مسبب این اختلال را در مدل‌های حیوانی تصحیح کند و عملکرد عضلات را بهبود بخشد. این نتایج نشان‌دهنده پتانسیل بالای کریسپر در تداوی دیستروفی عضلانی دوشن است. با این حال، برای انتقال این روش‌ها به کاربردهای کلینیکی در انسان، نیاز به تحقیقات بیشتری است تا ایمنی و اثربخشی آن‌ها تأیید شود (۱٦, ۱۷). فناوری ویرایش جنوم کریسپر در سال‌های اخیر به عنوان ابزاری نوید بخش برای تداوی امراض خونی ارثی مانند کم‌خونی داسی‌شکل و بتا تالاسمی مورد توجه قرار گرفته است. این اختلالات ناشی از جهش‌هایی در جن‌های مرتبط با تولید هموگلوبین هستند که منجر به تولید هموگلوبین معیوب و در نتیجه مشکلات جدی در حمل اکسیجن توسط حجرات سرخ خون می‌شوند. کم‌خونی داسی‌شکل ناشی از جهشی در جن بتا هموگلوبین است که منجر به تولید هموگلوبین S می‌شود. این هموگلوبین در شرایط هایپوکسی، باعث تغییر شکل حجرات سرخ خون به حالت داسی‌شکل می‌شود که می‌تواند منجر به انسداد اوعیه خونی و عوارض جدی گردد. بتا تالاسمی نیز به دلیل جهش‌هایی در جن HBB رخ می‌دهد که منجر به کاهش یا عدم تولید زنجیره‌های بتا در هموگلوبین می‌شود. این امر باعث عدم تعادل در نسبت زنجیره‌های آلفا و بتا و در نتیجه کاهش تولید هموگلوبین سالم و کم‌خونی می‌گردد. یکی از راهبردهای مورد استفاده در این زمینه، فعال‌سازی جن هموگلوبین جنینی (HbF) است. در دوران جنینی، HbF نقش اصلی را در حمل اکسیجن ایفا

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

می‌کند، اما پس از تولد، بیان آن کاهش یافته و هموگلوبین بالغ (HbA) جایگزین آن می‌شود. مطالعات نشان داده‌اند که افزایش بیان HbF می‌تواند اثرات منفی هموگلوبین معیوب را کاهش دهد. با استفاده از فناوری کریسپر، محققان توانسته‌اند نواحی تنظیمی جنوم را که مسئول سرکوب بیان HbF پس از تولد هستند، هدف قرار داده و با غیرفعال‌سازی آن‌ها، بیان HbF را در حجرات خونی افزایش دهند. این افزایش در بیان HbF می‌تواند به بهبود علائم در افراد مبتلا به کم‌خونی داسی‌شکل و بتا تالاسمی کمک کند. علاوه بر این، کریسپر امکان تصحیح مستقیم جهش‌های بیماری‌زا در جن HBB را نیز فراهم می‌کند. با ویرایش دقیق جنوم، می‌توان جهش‌های مسبب این امراض را اصلاح کرده و تولید هموگلوبین سالم را در افراد مبتلا بازیابی نمود (۱۸, ۱۹). یکی از موفقیت‌های برجسته کریسپر-کس ۹ در تداوی آماروز مادرزادی لبر(LCA) ، نوعی اختلال ارثی که منجر به از دست رفتن بینایی در کودکان می‌شود، می‌باشد. آزمایشات کلینیکی اخیر نشان داده‌اند که با استفاده از کریسپر، می‌توان عملکرد حجرات شبکیه چشم را بازیابی کرده و بینایی افراد مبتلا را تا حد قابل توجهی بهبود بخشید (۲۲-۲۰). این نتایج نشان‌دهنده توانایی این فناوری در تداوی اختلالات غیرقابل تداوی گذشته است. فناوری کریسپر-کس ۹ به عنوان یک ابزار ویرایش جن، در تداوی سرطان‌های جنتیکی نقش مهمی ایفا کرده است. این فناوری با ایجاد تغییرات هدفمند در DNA، جن‌های محرک تومور را خاموش یا اصلاح می‌کند. در سرطان‌های ریه، پستان و ملانوم، کریسپر برای مهار بیان جن‌های انکوژنی مانند *KRAS* و MYC به کار رفته است که موجب کاهش تکثیر حجرات سرطانی و افزایش آپوپتوز در مدل‌های حیوانی شده است. همچنین، از این روش برای افزایش حساسیت حجرات سرطانی به کیموتراپی و ایمنی‌درمانی استفاده شده است که راه را برای تداوی‌های شخصی‌سازی‌شده سرطان هموار می‌کند (۲۳, ۲٤).

با وجود پیشرفت‌های چشمگیر، چالش‌های متعددی در استفاده از کریسپر-کس ۹ وجود دارد. یکی از اصلی‌ترین مشکلات، بروز ویرایش‌های خارج از هدف (off-target effects) است. این اثرات زمانی رخ می‌دهند که کریسپر جن‌های ناخواسته را ویرایش می‌کند و می‌تواند منجر به جهش‌های غیرقابل پیش‌بینی و عوارض جانبی جدی شود (۲۵). برای کاهش این خطر، نسخه‌های بهبود یافته‌ای از پروتئین Cas9 مانند SpCas9-HF و eSpCas9توسعه یافته‌اند که دقت بالاتری دارند (۲٦). مسئله دیگر، تحویل موثر ابزار کریسپر به حجرات هدف است. وکتورهای وایروسی معمولا برای انتقال این ابزار استفاده می‌شوند، اما این روش خطراتی مانند تحریک واکنش معافیتی یا جهش‌زایی را به همراه دارد (۲۷). به همین دلیل، محققان به دنبال روش‌های غیر وایروسی مانند نانوذرات و لیپوزوم‌ها هستند که معافیت بیشتری دارند. از جنبه اخلاقی نیز

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

ویرایش جنتیکی در حجرات جنینی یا خط زاینده به دلیل تاثیرات بلندمدت و احتمالی بر نسل‌های آینده، یکی از موضوعات بحث‌برانگیز است. بسیاری از کشورها محدودیت‌های قانونی شدیدی برای ویرایش جنتیکی جنین انسان وضع کرده‌اند تا از سوء استفاده‌های احتمالی جلوگیری شود (۲۸, ۲۹). این مسائل نیازمند تدوین چارچوب‌های اخلاقی جامع برای استفاده از این فناوری هستند. کریسپر-کس ۹ در مقایسه با سایر روش‌های ویرایش جنوم مانند ZFNsو TALENs دارای مزایای متعددی است. این فناوری نه تنها هزینه کمتری دارد، بلکه طراحی و اعمال آن نیز ساده‌تر است. علاوه بر این، کریسپر توانایی ویرایش چندین جن به طور همزمان را دارد که در تداوی اختلالات پیچیده جنتیکی بسیار مفید است (۳۰). به طور مثال، در حالی که روش‌های قدیمی‌تر به زمان و منابع بیشتری نیاز دارند، کریسپر می‌تواند با سرعت و دقت بالاتر عمل کند. با این حال، روش‌های جدیدتری مانند پایه‌ویرایش (base editing)و ویرایش اولیه (prime editing) که از کریسپر مشتق شده‌اند، توانایی اصلاح تک‌نوکلئوتایدها بدون برش کامل DNA را ارائه می‌دهند. این روش‌ها معافیت بیشتری دارند و احتمال بروز جهش‌های ناخواسته را کاهش می‌دهند (۳۱). در نتیجه، آینده تداوی اختلالات جنتیکی ممکن است ترکیبی از این فناوری‌ها را دربرگیرد.

نتیجه‌گیری و چشم‌اندازها

با وجود چالش‌ها و محدودیت‌ها، کریسپر-کس ۹ به عنوان یکی از پیشرفته‌ترین ابزارهای ویرایش جنوم، پتانسیل تغییر بنیادین تداوی امراض نتیکی را دارد. پیشرفت‌های مداوم در بهبود دقت، معافیت و روش‌های تحویل این فناوری نشان می‌دهد که استفاده گسترده از کریسپر در کلینیک نزدیک است. به منظور دستیابی به این هدف، تحقیقات بیشتری در زمینه رفع محدودیت‌ها و تدوین مقررات اخلاقی لازم است. کریسپر-کس ۹ نه تنها نویدبخش تداوی امراض غیرقابل تداوی است، بلکه دریچه‌ای به سوی طب شخصی و تداوی مبتنی بر جنوم باز می‌کند.

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

منابع

1. Wang H, La Russa M, Qi LS. CRISPR/Cas9 in Genome Editing and Beyond. Annual Review of Biochemistry. 2016;85(Volume 85, 2016):227-64.
2. Zhang F, Wen Y, Guo X. CRISPR/Cas9 for genome editing: progress, implications and challenges. Human Molecular Genetics. 2014;23(R1):R40-R6.
3. Liang P, Xu Y, Zhang X, Ding C, Huang R, Zhang Z, et al. CRISPR/Cas9-mediated gene editing in human tripronuclear zygotes. Protein & Cell. 2015;6(5):363-72.
4. Zhang H, Qin C, An C, Zheng X, Wen S, Chen W, et al. Application of the CRISPR/Cas9-based gene editing technique in basic research, diagnosis, and therapy of cancer. Molecular Cancer. 2021;20(1):126.
5. Janik E, Niemcewicz M, Ceremuga M, Krzowski L, Saluk-Bijak J, Bijak M. Various Aspects of a Gene Editing System—CRISPR–Cas9. International Journal of Molecular Sciences. 2020;21(24):9604.
6. Guo C, Ma X, Gao F, Guo Y. Off-target effects in CRISPR/Cas9 gene editing. Frontiers in bioengineering and biotechnology. 2023;11:1143157.
7. Khan FA, Pandupuspitasari NS, Chun-Jie H, Ao Z, Jamal M, Zohaib A, et al. CRISPR/Cas9 therapeutics: a cure for cancer and other genetic diseases. Oncotarget. 2016;7(32):52541-52.
8. Alkanli SS, Alkanli N, Ay A, Albeniz I. CRISPR/Cas9 Mediated Therapeutic Approach in Huntington's Disease. Molecular Neurobiology. 2023;60(3):1486-98.
9. Duarte F, Vachey G, Caron NS, Sipion M, Rey M, Perrier AL, et al. Limitations of Dual-Single Guide RNA CRISPR Strategies for the Treatment of Central Nervous System Genetic Disorders. Human Gene Therapy. 2023;34(17-18):958-74.
10. Matharu N, Ahituv N. Modulating gene regulation to treat genetic disorders. Nature Reviews Drug Discovery. 2020;19(11):757-75.
11. Bhattacharjee G, Gohil N, Khambhati K, Mani I, Maurya R, Karapurkar JK, et al. Current approaches in CRISPR-Cas9 mediated gene editing for biomedical and therapeutic applications. Journal of Controlled Release. 2022;343:703-23.
12. Li T, Yang Y, Qi H, Cui W, Zhang L, Fu X, et al. CRISPR/Cas9 therapeutics: progress and prospects. Signal Transduction and Targeted Therapy. 2023;8(1):36.
13. Rasul MF, Hussen BM, Salihi A, Ismael BS, Jalal PJ, Zanichelli A, et al. Strategies to overcome the main challenges of the use of CRISPR/Cas9 as a replacement for cancer therapy. Molecular Cancer. 2022;21(1):64.
14. Xu Y, Li Z. CRISPR-Cas systems: Overview, innovations and applications in human disease research and gene therapy. Computational and Structural Biotechnology Journal. 2020;18:2401-15.
15. Hosseini SY, Mallick R, Mäkinen P, Ylä-Herttuala S. Navigating the prime editing strategy to treat cardiovascular genetic disorders in transforming heart health. Expert Review of Cardiovascular Therapy. 2024;22(1-3):75-89.
16. Min YL, Bassel-Duby R, Olson EN. CRISPR Correction of Duchenne Muscular Dystrophy. Annu Rev Med. 2019;70:239-55.
17. Nelson CE, Hakim CH, Ousterout DG, Thakore PI, Moreb EA, Castellanos Rivera RM, et al. In vivo genome editing improves muscle function in a mouse

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]

model of Duchenne muscular dystrophy. Science. 2016;351(6271):403-7.
18. Tariq H, Khurshid F, Khan MH, Dilshad A, Zain A, Rasool W, et al. CRISPR/Cas9 in the treatment of sickle cell disease (SCD) and its comparison with traditional treatment approaches: a review. Ann Med Surg (Lond). 2024;86(10):5938-46.
19. Hoban MD, Orkin SH, Bauer DE. Genetic treatment of a molecular disorder: gene therapy approaches to sickle cell disease. Blood. 2016;127(7):839-48.
20. Maeder ML, Gersbach CA. Genome-editing Technologies for Gene and Cell Therapy. Mol Ther. 2016;24(3):430-46.
21. Yan AL, Du SW, Palczewski K. Genome editing, a superior therapy for inherited retinal diseases. Vision Research. 2023;206:108192.
22. Stone EM, Burnight ER, Wiley LA, Streb LM, Affatigato LM, Andorf JA, et al. CRISPR-based Genome Editing for treatment of CEP290-IVS26-associated Leber Congenital Amaurosis (LCA). Investigative Ophthalmology & Visual Science. 2016;57(12).
23. Zhang H, Qin C, An C, Zheng X, Wen S, Chen W, et al. Application of the CRISPR/Cas9-based gene editing technique in basic research, diagnosis, and therapy of cancer. Molecular cancer. 2021;20:1-22.
24. Balon K, Sheriff A, Jacków J, Łaczmański Ł. Targeting cancer with CRISPR/Cas9-based therapy. International journal of molecular Sciences. 2022;23(1):573.
25. Tycko J, Myer VE, Hsu PD. Methods for Optimizing CRISPR-Cas9 Genome Editing Specificity. Mol Cell. 2016;63(3):355-70.
26. Slaymaker IM, Gao L, Zetsche B, Scott DA, Yan WX, Zhang F. Rationally engineered Cas9 nucleases with improved specificity. Science. 2016;351(6268):84-8.
27. Yin H, Song CQ, Dorkin JR, Zhu LJ, Li Y, Wu Q, et al. Therapeutic genome editing by combined viral and non-viral delivery of CRISPR system components in vivo. Nat Biotechnol. 2016;34(3):328-33.
28. Kang XJ, Caparas CIN, Soh BS, Fan Y. Addressing challenges in the clinical applications associated with CRISPR/Cas9 technology and ethical questions to prevent its misuse. Protein & cell. 2017;8(11):791-5.
29. Gostimskaya I. CRISPR–cas9: A history of its discovery and ethical considerations of its use in genome editing. Biochemistry (Moscow). 2022;87(8):777-88.
30. Mussolino C, Alzubi J, Fine EJ, Morbitzer R, Cradick TJ, Lahaye T, et al. TALENs facilitate targeted genome editing in human cells with high specificity and low cytotoxicity. Nucleic Acids Res. 2014;42(10):6762-73.
31. Anzalone AV, Randolph PB, Davis JR, Sousa AA, Koblan LW, Levy JM, et al. Search-and-replace genome editing without double-strand breaks or donor DNA. Nature. 2019;576(7785):149-57.

[Downloaded from kjms.knu.edu.af on 2026-07-12]

[DOI: 10.62134/kjms091649]