
研究人员用“基因剪刀”减轻实验鼠自闭症症状

作者：writer 来源：新华社

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/1061.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

美国研究人员用金纳米颗粒运载基因剪刀，修改实验鼠脑部的一个自闭症相关基因，成功减少了实验鼠的刻板重复行为。

基因剪刀指CRISPR-Cas9技术，可剪切或替换基因片段，就像在电脑上编辑文章那样。

美国加利福尼亚大学伯克利分校日前发布的新闻公报说，该校人员参与的这项新研究，是基因剪刀首次成功用于在大脑中编辑基因、起到治疗效果。相关论文发表在英国《自然·生物医学工程》杂志上。

长时间重复一些无意义的动作或怪异行为是自闭症典型症状之一。患有脆性X染色体综合症的实验鼠会重复挖掘和跳跃，可作为动物模型研究人类自闭症，它们的重复行为与脑细胞的代谢型谷氨酸受体5(mGluR5)基因过度活跃有关。

研究人员把剪刀蛋白质Cas9和起定位作用的RNA附着在金纳米颗粒表面，再用聚合物包裹，通过颅内注射运送到实验鼠脑部的纹状体区域，修改mGluR5基因。结果发现，纹状体中的mGluR5蛋白质减少了约一半，实验鼠的重复挖掘行为减少了30%，重复跳跃行为减少了70%。

实验表明，金纳米颗粒运载的基因剪刀能对多种脑细胞进行基因编辑，并且没有明显毒性。研究人员说，与传统的病毒载体相比，金纳米颗粒载体有利于控制剪刀蛋白质和定位RNA的表达程度，使它们完成任务就功成身退，减少副作用。

自闭症成因非常复杂，脆性X染色体综合征只是其中一种，而且对实验鼠有效的疗法未必对人类有效，因此这项成果还不能很快应用于治疗自闭症。不过它显示了基因剪刀和金纳米颗粒载体的潜力，将推进相关领域的研究，为自闭症和其他多种大脑相关疾病寻找治疗手段。(来源：新华社)

更多科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](https://www.iikx.com)转发