产前基因疗法可预防致命神经退行疾病

作者：唐一尘/编译 来源：中国科学报

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/1257.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！

近日，《自然—医学》在线发表的一篇论文指出，基因治疗可以预防小鼠发生早发性致命神经退行性疾病。

戈谢病是一种遗传病，常见症状包括肝脾肿大、骨骼易碎、骨痛、贫血、疲劳和易受挫伤。这些症状源于机体无法正常分解脂质，导致其堆积。一些轻度戈谢病可以通过产后的酶替代疗法加以治疗，但是会引发不可逆的早发性神经退行的重度戈谢病目前无药可治，而且通常具有致命性。这种预后意味着必须尽早展开治疗。

英国伦敦大学学院的Simon Waddington及同事采用手术方式，将一种病毒载体递送至胎鼠的中枢神经系统。这种病毒载体经过改造，重新广泛表达一种特殊编码基因——编码戈谢病患者所缺乏的一种酶。子宫内的小鼠接受这种治疗后，脑部退化有所缓解，存活期明显长于未接受治疗的小鼠。为了实现临床应用，研究人员还设法利用超声波将类似的病毒基因转移载体引导递送至未出生的非人类灵长类动物较大的大脑内。

未来还需要开展进一步的研究以确定病毒载体在目标动物生命周期内需要继续表达的程度，尤其是在非人类灵长类动物较大的神经中枢系统中。除此之外，这类基因疗法要求及早准确地诊断出产前疾病。(来源：中国科学报 唐一尘/编译)

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转发