
“基因魔剪”准确性低于预期

作者：张梦然 来源：科技日报

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/1280.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！

英国《自然·生物技术》杂志在线发表了一项重要研究：有基因魔剪之称的CRISPR-Cas9基因组编辑技术，在靶点附近引起的DNA删除或重排，比科学家此前预期得要严重。该发现意味着，研究人员必须密切观察基于CRISPR-Cas9疗法对编辑后细胞造成的序列变化。

目前，CRISPR-Cas9基因组编辑已被广泛认为是癌症、HIV、血友病和镰状细胞疾病的潜在治疗方法。Cas9的作用机制，是剪切基因组内靶点位置的细胞DNA双链。细胞修复DNA双链断裂的路径通常会引入小规模DNA插入或删除。这个过程可以用来使致病基因失活，或修正基因突变。在此之前，人们对这一技术手段的主要安全顾虑是Cas9的脱靶率较高。

但此次，英国维康桑格研究所科学家艾兰·布拉德雷及其同事通过研究小鼠和人类的实验室细胞系发现，除了已知的伴随DNA双链断裂修复发生的小规模DNA错误，CRISPR-Cas9技术还可能在靶点附近导致大规模的DNA删除，在部分情况下，甚至引起复杂的DNA重排。

研究团队发现，在小鼠干细胞和人类视网膜色素上皮细胞内，可能出现规模达数千DNA碱基的删除，导致临近基因或调控序列可能受到影响，并改变细胞功能。

研究人员表示，以上发现与Cas9的临床应用的相关性尚未可知。虽然上述实验的原本目的不是检测除了敲除靶基因之外染色体变化的有害影响，但是却突出了一个潜在安全隐患，急需对此开展进一步的研究。

而就在今年2月，《自然》杂志网站还曾报道一项由斯坦福大学领导的研究，其揭示人体自身的免疫系统也可能会破坏基于CRISPR-Cas9开发的基因疗法。（科技日报 张梦然）

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