我国科学家发现基因剪新系统

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/13716.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！

我国科学家发现基因剪新系统。

中科院脑科学与智能技术卓越创新中心（中科院神经所）杨辉团队通过对微生物大规模宏基因组数据进行计算分析发现两类新的CRISPR/Cas13系统，通过一系列工程化改造开发了一套高效率和高特异性的RNA编辑工具，该工具对开发基于RNA编辑的基因治疗手段具有重要的促进作用。该研究成果5月3日在线发表于《自然—方法》。

CRISPR/Cas13是一类RNA介导的靶向RNA切割的系统，它被广泛地应用于RNA敲低、RNA单碱基编辑、以及核酸检测领域（比如新冠病毒检测）。相比于传统的RNA干扰技术，Cas13系统具有更高的敲低效率和特异性；而且，相比于Cas9介导的DNA编辑技术，Cas13不会对基因组造成永久性改变，甚至可以通过药物调控RNA编辑，使其具有可逆性，因此在疾病治疗上具有比较独特的优势。

之前发现的Cas13系统都是从可培养的微生物基因组数据中挖掘的，然而自然界中90%的微生物都是不可培养的。因此，我们团队这次把目标聚焦在挖掘未获培养的自然微生物宏基因组数据。杨辉告诉《中国科学报》，这项研究通过精巧的计算生物学算法和实验设计，鉴定到了两个新的Cas13家族，并命名为Cas13X和Cas13Y，其中，Cas13X.1蛋白比常用的RfxCas13d蛋白还要小将近200个氨基酸，为目前最小的Cas13蛋白。通过对大量内源基因位点进行RNA敲低实验，Cas13X.1展现了与RfxCas13d同样的高活性和高特异性。之后，杨辉团队在Cas13X.1的基础上开发了一种迷你型的RNA单碱基编辑工具，并显示极低的脱靶活性。

这项工作证明Cas13X.1在RNA编辑方面具有非常大的应用潜力，有望在未来成为一种高效和安全的RNA治疗药物，为疾病 (尤其是罕见病) 基因治疗提供了更多的选择。终于了有我们自己的基因编辑工具，专利不再受制于人。据了解，杨辉实验室目前正在超过10种罕见病、数种常见病上面测试Cas13X的治疗效果，希望Cas13X能够早日应用到临床上，造福患者。（来源：中国科学报 黄辛）

相关论文信息：https://doi.org/10.1038/s41592-021-01124-4

版权声明：凡本网注明来源：中国科学报、科学网、科学新闻杂志的所有作品，网站转载，请在正文上方注明来源和作者，且不得对内容作实质性改动；微信公众号、头条号等新媒体平台，转载请联系授权。邮箱：shouquan@stimes.cn。
作者：杨辉等 来源：《自然—方法》

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