
CRISPR基因编辑治病，实现了

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/14427.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！

CRISPR基因编辑治病，实现了。CRISPR基因编辑擅长修复实验室培养细胞中的疾病突变，若使用CRISPR来治疗遗传病患者，需要清除一个巨大的障碍：将分子剪刀工具直接注射到受影响的细胞中，从而实现DNA切割。

近日，英国伦敦大学的研究人员首次将CRISPR药物注射到一种罕见遗传病（转甲状腺素蛋白淀粉样变性病）患者的血液中，并发现其中3人的肝脏几乎停止了产生有毒的蛋白质。相关研究结果发表于6月26日《新英格兰医学杂志》。

虽然目前还不能确定CRISPR治疗是否会缓解该疾病的症状，但该研究的初步数据让人们对这种一次性治疗的效果感到兴奋。未参与该研究的宾夕法尼亚大学基因编辑研究员、心脏病学家Kirin Musunuru说：这是令人震惊的结果，它超出了我所有的预期。

CRISPR临床试验治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变性病的原理是使一种突变基因失活，该突变基因会导致人体肝细胞产生一种错误折叠的蛋白质，这种蛋白质被称为转甲状腺素(TTR)，它会在人体的神经和心脏上积聚，导致神经疼痛、麻木和心脏病。基于RNA干扰机制的药物Patisiran脂质复合物注射液，被批准用于该疾病的治疗。

对于大多数疾病来说，CRISPR疗法意味着以某种方式将CRISPR成分或基因指令注射到血液中，然后将治疗目标对准一个器官或组织，这是一个巨大的挑战。不过，该疗法在肝脏中可能更容易实现，因为肝脏会吸收外来颗粒。

在该研究中，受试对象为患有转甲状腺素蛋白淀粉样变性病的四男两女，年龄在46~64岁，他们均注射了含有两种不同RNA的脂质粒子：一种编码Cas蛋白质的mRNA，这种CRISPR成分可以剪断DNA，还有一种向导RNA可以把它导向TTR基因。

该试验负责人、伦敦大学Julian Gillmore表示，28天后，接受两剂治疗中较高剂量治疗的3名患者的TTR水平下降了80%~96%，与patisiran药物治疗组的平均水平（TTR水平下降约81%）持平或更好。

巴黎萨克莱大学神经学家David Adams领导了patisiran药物的试验，他介绍，patisiran是治疗这种遗传性致残致命的疾病的第一种治疗方法。该药物可以暂时抑制TTR的产生，这意味着必须定期注射patisiran药物。

接受CRISPR治疗的患者可能需要几个月的时间才能看到症状减轻，但根据报告显示，该疗法的

短期副作用很少。但随着时间的推移，相关问题可能会显现：CRISPR可能会在错误的DNA位置（包括非肝细胞）进行切割，并引发癌症或其他问题。

瑞典卡罗林斯卡学院心血管研究员Kenneth Chien表示，脂质包裹mRNA的方法可能比使用病毒传递编码编辑蛋白的遗传指令并引导RNA进入细胞更安全。基因可以在细胞中持续存在，在完成其工作后很长一段时间内继续生成基因编辑器，而相反，mRNA的美妙之处在于它会在完成工作后消失。

加州大学伯克利分校Jennifer Doudna说，这项新工作是在能够灭活、修复或替换身体任何部位的致病基因方面，迈出了关键的第一步。（来源：中国科学报辛雨）

相关论文信息：<https://doi.org/10.1056/NEJMoa2107454>

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：Gillmore 来源：《新英格兰医学杂志》

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