《自然》子刊：升级版RNA编辑技术效率变高

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/17410.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！

《自然》子刊：升级版RNA编辑技术效率变高。
北京时间2月11日，北京大学教授、博雅辑因科学创始人魏文胜实验室在Nature Biotechnology发文，报道了RNA单碱基编辑技术LEAPER的升级版本，升级后该技术可大幅提升体外和体内编辑的效率和精准性。

LEAPER（Leveraging endogenous ADAR for programmable editing of RNA）是指利用特殊设计的arRNA（ADAR-recruiting RNA）招募内源ADAR蛋白（Adenosine Deaminase Acting on RNA），将特定的腺苷转化为肌苷，实现对RNA的高效、精准编辑。该技术由魏文胜实验室研发并于2019年在Nature Biotechnology上首次报道。

LEAPER 2.0版本经过多重设计改造，在体外和体内均大幅提升了编辑效率，同时降低了脱靶效应。魏文胜告诉《中国科学报》：LEAPER在科学研究、疾病治疗等方面拥有可观的优势和潜能，我们一直致力于不断提升其效率和精准性，从而不断拓展其在疗法开发和基础研究方面的应用潜力。

升级后，这项RNA基因编辑技术打开了进一步应用的大门。博雅辑因首席执行官魏东表示：我们已经与国内外顶尖科研机构就该技术的进一步转化达成了研究合作，并将继续发挥产学研结合的优势，加速推进该项技术的转化，以尽早将创新疗法带给中国乃至全球患者。

LEAPER相较于其他基因编辑技术具有独特优势。博雅辑因首席执行官魏东介绍说，针对LEAPER 2.0，他们在通过腺病毒相关病毒递送的多个临床前研究模型中取得了令人兴奋的数据，实现了其向体内RNA编辑疗法转化的概念验证。

据了解，2021年11月，博雅辑因与北京协和医院睢瑞芳教授团队达成研究合作，双方将基于我国遗传性视网膜变性（IRD）人群的基因变异特征，探索推进体内基因编辑疗法；同月，博雅辑因与威斯康星大学麦迪逊分校达成研究合作，助力公司对体内基因编辑疗法的开发。

据告知，魏文胜和魏东应邀将于2022年4月5~7日在美国波士顿举办的第三届RNA编辑峰会上就LEAPER2.0的科研成果和疗法开发进展分别做报告；魏东还将于2022年5月9-12日在美国波士顿举办的第23届TIDES会议上做报告。(来源：中国科学报赵广立)

相关论文信息：https://doi.org/10.1038/s41587-021-01180-3

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：魏文胜等 来源：《自然—生物技术》

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