新策略有望治疗常染色体隐性听力损失

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/17824.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！

新策略有望治疗常染色体隐性听力损失。



基因治疗体系体内研究示意图。 中国农科院供图

近日，中国农业科学院深圳农业基因组研究所与复旦大学附属眼耳鼻喉科医院合作，开发出常染色体隐性听力损失治疗新策略，该研究是首个基于CRISPR/Cas9-HMEJ技术治疗隐性遗传性感音神经性聋成功的研究，为遗传性耳聋的精准治疗以及潜在的临床转化提供了强有力的科学证据。相关研究成果发表在《细胞研究》（Cell Research）上。

据世界卫生组织（WHO）官网报道，全球约有4.66亿人患有致残性听力障碍，其中3400万是儿童。临床上对于遗传性感音神经性聋的治疗，除了佩戴助听器和植入人工耳蜗等方式外，尚无任何有效的治疗手段。在非综合征型遗传性耳聋中，常染色体隐性遗传性耳聋占80%。治疗这类疾病，最佳方法是精准修复相应的基因突变位点，使听力恢复。

CRISPR/Cas9基因编辑系统是近年来兴起的新型基因编辑工具，已在遗传疾病治疗中表现出了巨大的应用潜力。该研究基于CRISPR/Cas9-HMEJ策略精准纠正了小鼠体内内毛细胞中的基因突变位点，恢复了耳蜗部分内毛细胞静纤毛形态、修复了内毛细胞持续囊泡释放功能并持久改善了小鼠的听觉功能，为最终在人类隐性遗传性耳聋及其他器官系统隐性遗传性疾病中实现安全、持久的基因治疗提供了科学依据和参考。（来源：中国科学报 李晨 马昕怡）

相关论文信息：https://doi.org/10.1038/s41422-022-00624-y

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：舒易来等 来源：《细胞研究》

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