Nat Med：基因疗法新突破！成功治疗线粒体基因突变疾病

作者：writer 来源：本站

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/2286.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！

Nat Med：基因疗法新突破！成功治疗线粒体基因突变疾病。2018年9月26日讯，线粒体基因组突变(mtDNA)是导致线粒体疾病很重要的原因。到目前为止，由于外显率、表现和预后的异质性，这些线粒体疾病仍然无法治愈，也很难有效治疗。
为了为这类疾病带来新的治疗方法，近日来自剑桥大学的科学家们利用了一种最近开发的可以代表心脏组织中异质mtDNA疾病的常见分子特征的小鼠模型(m.5024C>T tRNAAla小鼠)进行了相关基因疗法的探索，他们利用基因编辑技术技术成功地消除了小鼠心脏组织的mtDNA突变，相关研究成果于近日发表在《Nature Medicine》上，题为Genome editing in mitochondria corrects a pathogenic mtDNA mutation in vivo。

研究人员使用了一种可编程核酸酶的治疗方法，通过系统注射腺相关病毒输送靶向线粒体的锌指核酸酶(mtZFN)到达心脏组织，研究人员成功地特异性清除了小鼠心脏中的突变mtDNA，同时还伴随着小鼠的分子和生物化学表型的逆转。

这些发现表明利用可编程的核酸酶靶向mtDNA进行基因修复具有潜力成为治疗各种遗传导致的异质性线粒体疾病的基因疗法。

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