TnpB通过基因编辑治疗遗传性疾病

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/25981.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！

TnpB通过基因编辑治疗遗传性疾病。在一个遥远的微观宇宙中，有一个名为Deinococcus radiodurans的神秘微生物王国。这个王国里居住着一群拥有超凡能力的居民，他们能在极端环境下生存，并且拥有修复自身DNA的神奇技能。在这个王国中，有一个特别的小英雄，它的名字叫TnpB，这个小巧的战士即将开启一场改变世界的基因编辑之旅。

TnpB，这个与转座子相关的核糖核蛋白酶，拥有着前所未有的小巧体型和强大的基因编辑能力。最近，在《自然—通讯》杂志上，来自上海临港实验室胥春龙，上海辉大基因周英思和新加坡国立大学的胡纯一实验室联合团队的科学家们揭示了TnpB的超凡魅力。这个仅由408个氨基酸组成的小战士，展示出了远超以往所有基因编辑工具的能力，特别是在治疗遗传性疾病方面。

TnpB的冒险始于一个艰巨的任务：在小鼠胚胎中进行基因编辑。它的表现超乎所有人的预期，甚至超过了之前被发现的小型Cas12f1蛋白。但TnpB并不满足于此，它决心成为更强大的战士。在科学家们的帮助下，TnpB的非编码RNA（即ωRNA或reRNA）经过了一系列的改造，极大地提升了它的核酸酶活性。

最激动人心的时刻终于到来。经过优化的TnpB-ωRNA系统被成功地通过单次腺相关病毒（AAV）注射传递到了酪氨酸血症模型小鼠体内，非常有效地纠正了这种遗传疾病的表型。这不仅是TnpB个体的胜利，也是科学界在基因编辑领域的一大突破。

想象一下，如果我们能够利用TnpB这样的超级英雄，治愈那些曾被认为无法治愈的遗传疾病，那将是多么激动人心的事情！随着TnpB技术的不断发展和完善，我们有理由相信，在不久的将来，它将在医学界扮演更加重要的角色。

TnpB的故事启示我们，即使是微小的存在，也可以拥有改变世界的力量。在未来的日子里，这个小小的基因编辑战士将继续在科学的前沿战斗，为人类健康和生命科学的进步贡献力量。我们期待着TnpB带来的更多奇迹，见证一个新的科学篇章的诞生。

然而，TnpB的故事不仅仅是一次科学的突破。它也是关于合作和创新的故事。在这个故事中，来自不同领域的科学家们共同努力，将一个看似不起眼的微生物蛋白质转变为一种强大的治疗工具。这是跨学科合作的典范，展示了当我们将生物学、遗传学、工程学和医学相结合时，我们能够实现多么惊人的成就。（来源：科学网）

相关论文信息：https://doi.org/10.1038/s41467-024-45197-z

作者：胥春龙等 来源：《自然—通讯》

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