基因编辑疗法可改善遗传性失明患者视力

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/27084.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！



患者正在接受手术。图片来源：美国麻省眼耳医院

美国麻省眼耳医院和俄勒冈健康与科学大学联合开展的一项研究表明，在接受CRISPR基因编辑实验性治疗后，大约79%的遗传性视网膜变性临床试验参与者症状得到改善。研究论文发表在最新一期《新英格兰医学杂志》上。

EDIT-101是一种使用CRISPR技术的实验性基因编辑疗法。此次试验评估了EDIT-101的安全性和有效性，实验性治疗用于编辑中心体蛋白290(CEP290)基因中的突变，该基因指令负责表达对视力至关重要的蛋白质。

14名试验参与者中包括12名成人和两名儿童，他们患有由CEP290基因突变引起的Leber先天性视神经病变。通过手术患者接受了一次CRISPR/Cas9基因组编辑药物EDIT-101注射。

试验没有报告严重的治疗或与手术相关的不良事件，也没有任何剂量限制性毒性。对于疗效，研究人员审查了4项指标：最佳矫正视力(BCVA)、暗适应全场刺激测试
(FST)、视觉功能导航和与视觉相关的生活质量。

11名受试者在至少一项指标测试中表现出改善迹象，6名受试者有两项或多项测试结果表现出改善迹象，4名受试者的BCVA有临床意义的改善。在FST测试中，6名受试者在视锥介导的视力方面有所改善，其中5名受试者在另外3个指标中至少有1个有所改善。

(原标题：临床试验显示——基因编辑疗法可改善遗传性失明患者视力)

作者：张梦然 来源：科技日报

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