
新转运载体能有效穿过血脑屏障

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/27392.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！

新转运载体能有效穿过血脑屏障

。科技日报北京5月24日电（记者张梦然）据最新一期《科学》杂志报道，美国麻省理工学院和哈佛大学布罗德研究所团队设计出一种基因转运载体，能利用人类蛋白质有效穿过血脑屏障，并将与疾病相关的基因递送到人源化小鼠的整个大脑中，这是向开发出更有效的脑部疾病基因疗法迈出的重要一步。

基因疗法有可能治疗一系列严重的遗传性脑部疾病，目前这些疾病无法治愈，治疗选择也很少。但美国食品和药物管理局（FDA）批准的最常用的包装和递送这些治疗药物至靶细胞的载体——腺相关病毒（AAV）无法有效穿过血脑屏障。几十年来，突破血脑屏障成为一项巨大挑战，阻碍了更安全有效的脑部疾病基因疗法的开发。

现在，布罗德研究所团队设计出第一个以人类蛋白质为目标，并到达人源化小鼠大脑的AAV。在治疗由单基因突变引起的神经发育障碍时，这一AAV可能是更好选择。在动物测试中，编码转铁蛋白受体的小鼠基因首先被替换为人类对应基因，研究人员接着将AAV注射到成年小鼠血液中，发现与没有人转铁蛋白受体基因的小鼠相比，其大脑和脊髓中的AAV水平显著升高，这表明该受体正在积极地将AAV运送穿过血脑屏障。

新AAV在脑组织中的积累量比AAV9高40—50倍，AAV9正是FDA批准的婴儿脊髓性肌萎缩疗法的一部分。新AAV覆盖了大脑不同区域高达71%的神经元和92%的星形胶质细胞。在小鼠体内递送的GBA1基因（该基因与戈谢病、路易体痴呆和帕金森病有关）拷贝数是AAV9的30倍，且递送到了整个大脑的大部分细胞。

这意味着，新AAV进入大脑的水平，远比FDA批准基因治疗中使用的AAV高得多，同时它还到达了大部分重要类型的脑细胞。

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](http://iikx.com)转发