致病基因变异或可实现精准编辑

作者： 晋楠 来源：中国科学报

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/2848.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！

致病基因变异或可实现精准编辑。《自然》杂志发表的一篇新论文报告了一种方法，可以通过机器学习实现对致病基因变异精准且可预测的编辑。这项成果建立了一种实现精准、无模板基因组编辑的方法，为遗传疾病的研究和潜在疗法提供了新的可能性。

虽然CRISPR-Cas9彻底改变了用于研究的基因组编辑技术，但保证这项技术的准确性十分重要。CRISPR-Cas9基因组编辑常用DNA模板确保DNA修复的准确性，或将特定的DNA序列导入基因组中。因此，缺少这些模板的DNA修复常被认为不够准确。

现在，美国马萨诸塞州剑桥布列根和妇女医院及哈佛医学院的Richard Sherwood及同事发明了一种用机器学习预测基因组修复结果的方法，实现了精准的无模板Cas9编辑。研究者用一个含有近2000对Cas9向导RNA(gRNA)和人体DNA靶点的数据库，训练了一个名为inDelphi的机器学习模型。经该模型识别，5%~11% 靶向人体基因组的Cas9 gRNA能在超过50%的情况下(被称为精准50)产生单一且可预测的修复结果。inDelphi还能利用无模板Cas9编辑识别并预测出合适的致病基因变异靶标，包括一些曾被认为无法用该方法找到的靶标。

最后，研究者通过实验证明，人体细胞中与Hermansky-Pudlak综合征、Menkes病以及家族性高胆固醇血症这3种疾病有关的近200种致病变异，其编辑和修复的准确性都能达到精准50的标准。(来源：中国科学报 晋楠)

相关论文信息：DOI: 10.1038/s41586-018-0686-x

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