

---

# 基因编辑工具箱再添利器

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/32663.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！*

## 基因编辑工具箱再添利器

。美国麻省总医院布莱根妇女医院和贝斯以色列女执事医疗中心团队10日在《自然》杂志上发表重要研究成果，他们成功开发出一种创新基因编辑工具——STITCHR。这一工具利用RNA系统替换整个基因，能精准地将治疗基因插入到基因组的特定位置，且不会引发不必要的突变，推动基因治疗研究向前迈出了一大步。



DNA突变精准定位（示意图）。图片来源：物理学家组织网

相较于CRISPR基因编辑技术，STITCHR具备显著优势。CRISPR虽然革新了基因编辑领域，但其局限性在于无法靶向基因组的所有位置，也难以修复类似囊性纤维化等疾病中的大量突变。而STITCHR系统则通过完全配制成RNA的方式，极大地简化了基因交付的步骤，相较于传统系统更具效率。更重要的是，STITCHR能够插入整个基因，从而提供了一种一劳永逸的解决方案，有望克服CRISPR的缺点。

此次，团队从逆转录转座子中汲取灵感。逆转录转座子存在于所有真核细胞中，被称为“跳跃基因”，因其能在基因组中四处移动并插入其中的特性，被团队重新编程用于编辑特定位置的基因。

通过计算方法的筛选和实验室测试，团队最终确定了合适的转座子，并将其与CRISPR系统的切口酶结合，形成了高效的STITCHR系统。

这一创新工具的开发，不仅为基因治疗提供了新的可能性，也预示着未来在罕见和常见疾病治疗

---

领域，将涌现出更多基于细胞工程的新药物和疗法。团队表示，持续探索细胞中的基本生物学机制，为他们获取新工具提供了借鉴，进而扩展为细胞工程的进步，推动医疗技术发展。

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](https://www.iikx.com)转发