学者开发MIRROR提高RNA编辑效率

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/32800.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！

学者开发MIRROR提高RNA编辑效率。近日，中山大学生命科学学院教授张锐团队首次提出名为MIRROR的全新内源性ADAR招募gRNA设计理念，显著提高了RNA编辑效率，这一突破为RNA编辑技术走向临床应用注入了强劲动力，同时也为相关疾病的精准治疗描绘了全新蓝图。相关成果发表于《自然-生物技术》（Nature Biotechnology）。

与传统DNA编辑不同，RNA编辑避免了对基因组的永久性修改，其可控、可逆的特性大幅提升了基因治疗的安全性。特别是基于内源性ADAR的RNA编辑系统，能有效规避外源酶过表达可能引发的全局脱靶效应和潜在致癌风险，加之递送系统成熟，其安全性和成药性被业界广泛看好，成为RNA编辑药物研发最具潜力的方向。

然而，基于内源性ADAR的RNA编辑技术目前面临效率较低的瓶颈。传统ADAR gRNA设计通常采用完全互补的特异性域，但研究显示这种结构并非ADAR的最佳底物。研究团队开发出模拟天然底物构象的gRNA设计算法，并经高通量筛选得到高效MIRROR
gRNA。实验结果表明，MIRROR
gRNA的编辑效率最高可达传统gRNA的5.7倍，在小鼠体内实现了超过80%的编辑效率。

论文通讯作者张锐表示，该研究利用短链修饰化的MIRROR gRNA 在细胞模型中成功修复了α1-抗胰蛋白酶缺乏症基因SERPINA1的E342K致病突变，编辑效率高达90%以上。这展示了MIRROR在精准治疗遗传性疾病方面的巨大潜力。（来源：中国科学报 朱汉斌）

相关论文信息：https://doi.org/10.1038/s41587-025-02628-6

作者：张锐等 来源：《自然—生物技术》

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