
基因编辑疗法促胆固醇水平下降

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/32892.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！

基因编辑疗法促胆固醇水平下降

。科技日报讯（记者刘霞）据英国《新科学家》杂志网站近日报道，美国波士顿Verve制药公司开展的试验取得突破性进展：单剂CRISPR基因编辑疗法成功使患者胆固醇水平显著下降，且未出现严重副作用，其效果可能持续终生。

这项开创性研究招募了14名参与者，他们或患有会导致高胆固醇的遗传性疾病，或年轻时便罹患心脏病。团队采用名为Verve-102的创新疗法，通过CRISPR基因编辑技术，精准修改肝脏细胞DNA的单个碱基，从而关闭导致胆固醇升高的PCSK9蛋白的合成通路。这一灵感源自2005年的一项发现，基因突变天生缺乏PCSK9的人群不仅胆固醇水平显著偏低，且未表现出任何健康异常。

Verve-102疗法采用与mRNA疫苗相似的递送技术：将编码基因编辑工具的信使核糖核酸（mRNA）包裹在脂质纳米颗粒中。初步试验数据显示，接受低、中、高三种剂量治疗的患者，其有害的低密度脂蛋白胆固醇水平分别下降了21%、41%和53%。尤其是，最高剂量组的疗效可与现有PCSK9抑制剂相媲美。

团队表示，从理论上来说，细胞DNA发生不必要变化带来的风险很小。对于遗传性高胆固醇和心脑血管疾病高风险人群来说，Verve-102这种“一劳永逸”的基因疗法值得期待。不过，他们可能仍需数年才能完全确认其长期安全性。

作者：刘霞 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