

---

# CRISPR家族功能最全面的技术首次治疗人类

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/33357.html>

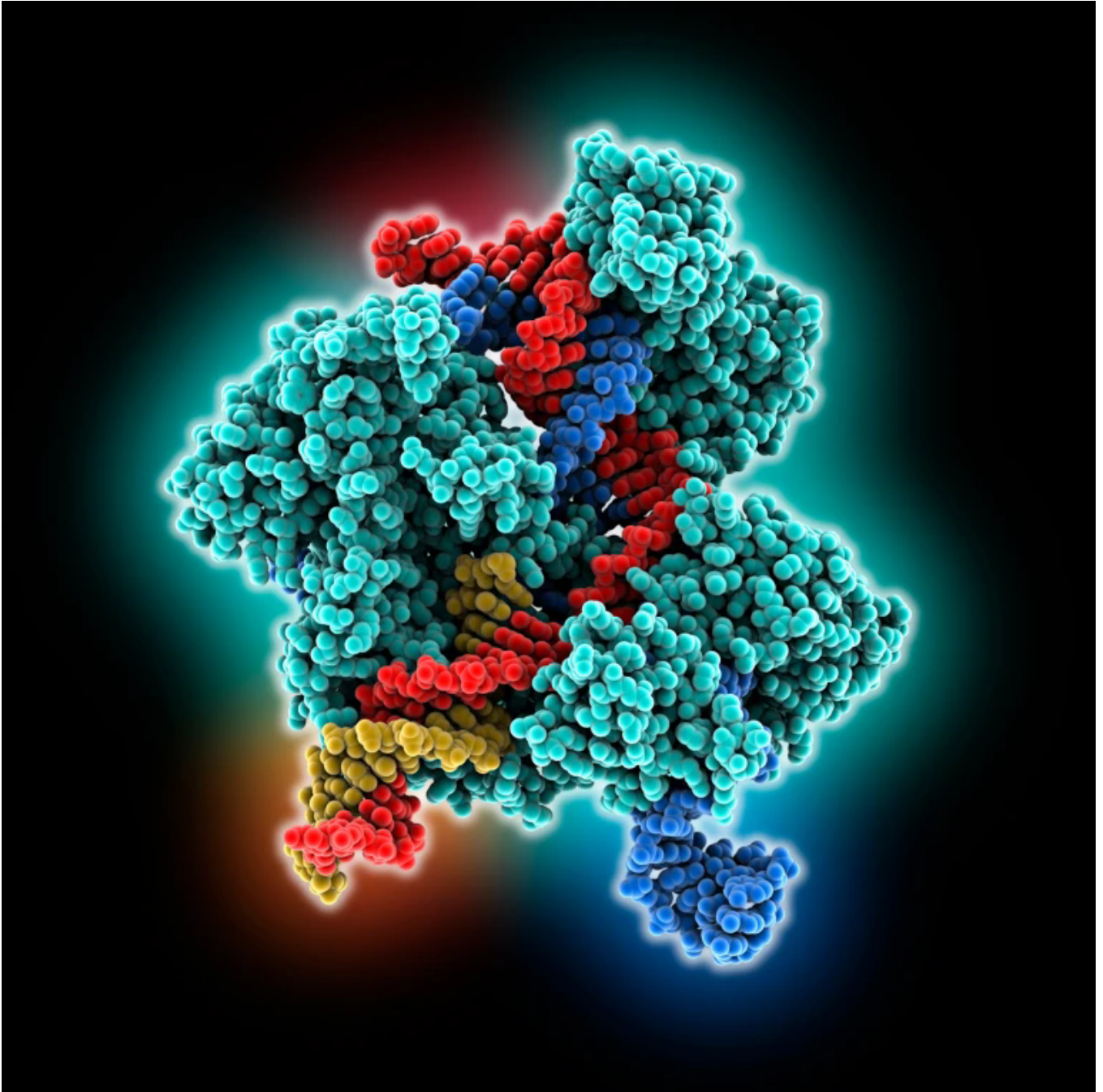
*本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！*

## CRISPR家族功能最全面的技术首次治疗人类

。一种被称为先导编辑的前沿基因编辑技术首次用于治疗人类，标志着CRISPR家族功能最全面的“成员”首次在医学领域亮相。

接受治疗者是一名患有罕见免疫疾病的18岁青少年。研究人员设计了这种治疗方法，以纠正导致慢性肉芽肿病的突变。这是一种危险的疾病，会使包括中性粒细胞在内的多种免疫细胞丧失功能

。



一种比经典CRISPR-Cas9更通用的基因编辑疗法已在一名遗传免疫疾病患者身上进行了试验。图片来源：Laguna Design/Science Photo Library

?

5月19日，美国生物技术公司Prime Medicine公布了研究结果。在接受治疗一个月后，这名青少年没有出现严重的副作用。而且，该疗法似乎恢复了患者2/3的中性粒细胞中一种关键酶的功能，足以显著增强他的免疫系统。该研究尚未在同行评议的期刊上发表。

---

法国内克尔儿童医院研究基因治疗的Annarita

Miccio没有参与这项研究。她表示：“这是一种有望治疗难治性疾病的方法，Prime Medicine之前在小鼠身上的研究结果令人鼓舞。他们花了很多精力设计出从长远来看非常有效的完美策略。”

但Miccio补充说，现在确认这种疗法是否成功还为时过早。确定经过编辑的干细胞正在“茁壮成长”，需要6个月到1年的时间。

尽管有这些早期成功的迹象，Prime Medicine却宣布将不再自行开发这种名为PM359的疗法，而是持续探索PM359在公司外部的临床开发方案。

Prime Medicine联合创始人、美国布罗德研究所化学生物学家刘如谦表示，这一决定反映了针对非常罕见的疾病开发基因编辑疗法的严峻现实。“科学已经取得了长足进步，许多患者将从这些基因编辑疗法中受益。”他说，“但归根结底，这不仅是一个科学技术问题，也是一个经济问题。”

目前市场上唯一的基因编辑疗法是一种基于CRISPR-Cas9治疗两种血液疾病——镰状细胞病和地中海贫血的方法。这种疗法每剂成本超过200万美元，在美国和英国的推广速度缓慢。

但一系列改进的基因编辑技术有望提供除经典CRISPR-Cas9之外的许多治疗选择。美国南加州大学凯克医学院的Joseph Hacia说：“这就像升级你的智能手机系统。新版本不断推出，工具也在不断完善。”

一些临床试验正在使用另一种被称为碱基编辑的基因编辑技术。5月15日，美国费城儿童医院的研究人员报告称，首次使用碱基编辑技术为一名患有致命代谢紊乱的婴儿设计了定制疗法。

而这项研究的先导编辑比CRISPR-Cas9或碱基编辑更通用、更可预测，并且能够以可编程的方式重写、插入或删除DNA片段。

Prime Medicine的治疗方案包括取出一个人的血液干细胞，对其进行编辑后重新引入人体。这一过程增加了治疗成本和复杂性——治疗必须对每个接受者进行新鲜处理，而且他们都必须提前接受艰苦的化疗方案，以杀死任何剩余的原始干细胞，为经过编辑的干细胞腾出空间。

Miccio说，一些公司已经放弃了对从人体中取出的细胞进行基因编辑的疗法，转而支持可以直接进入人体的更简单方法。刘如谦表示，他的实验室越来越多地关注可以替代整个基因的技术，这样一来，在特定基因中携带任何致病突变的人都可以使用相同的疗法进行治疗。

Prime Medicine表示，公司将继续开发先导编辑疗法，但将重点放在那些可以直接进入人体的疗法上。其中包括治疗囊性纤维化和两种肝脏疾病的潜在方法。

作者：王方 来源：中国科学报

---

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://www.iikx.com)转发