基因编辑胰岛细胞移植通过功能验证

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/34830.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！

基因编辑胰岛细胞移植通过功能验证
。科技日报北京8月7日电（记者刘霞）瑞典乌普萨拉大学研究团队在6日出版的《新英格兰医学杂志》发表成果称，全球首例由CRISPR-Cas基因编辑技术获得的供体胰岛β细胞，在未使用免疫抑制剂的情况下，在Ⅰ型糖尿病患者体内成功存活，并发挥功能长达12周。这项技术为根治Ⅰ型糖尿病带来曙光。

Ⅰ型糖尿病是免疫系统错误攻击胰岛β细胞导致的疾病。现有胰岛素疗法虽能控制病情，但患者仍需终身治疗，且面临心血管病风险增加、寿命缩短等问题。传统胰岛细胞移植受制于免疫排斥反应，需长期服用具有毒副作用的免疫抑制剂。

为攻克Ⅰ型糖尿病治疗中的上述难题，研究团队开创性地采用“基因魔剪”CRISPR-Cas12b技术，对供体胰岛细胞进行了改造：敲除B2M和CIITA基因以降低免疫原，转导慢病毒以过度表达CD47。得到的低免疫工程细胞随后被精准植入42岁受试者的左肱桡肌。值得注意的是，整个治疗过程完全未使用糖皮质激素、抗炎药和免疫抑制剂。

84天的严密监测显示，移植细胞成功躲避了免疫系统的“追杀”，未引发T细胞活化或抗体反应。影像学检查证实移植物存活良好，患者糖化血红蛋白显著下降42%。尽管目前移植细胞数量仅为治疗需求的7%，但这项生存与功能验证实验已取得关键性突破。

研究团队表示，此次使用的低免疫基因编辑技术可能获得更多治愈性β细胞，未来有望实现无需免疫抑制的糖尿病根治方案，让数百万患者摆脱每日扎针的痛苦及长期并发症的出现。

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转发