
新型基因编辑技术同时修复多个致病突变

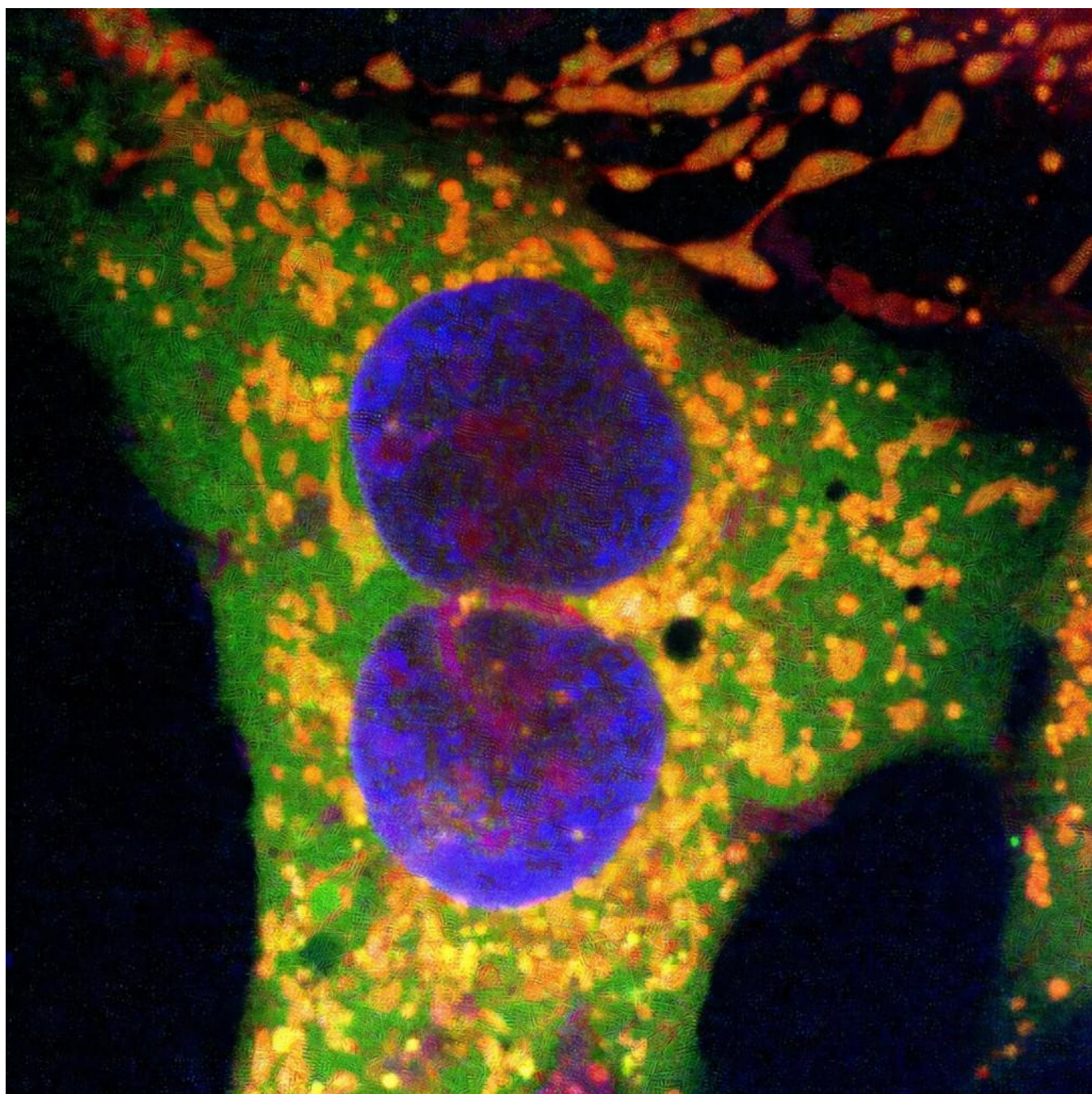
作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/36328.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！

新型基因编辑技术同时修复多个致病突变

。科技日报讯（记者刘霞）美国科研团队在新一期《自然·生物技术》杂志发表研究成果称，他们基于逆转录酶开发出一种新型基因编辑技术，能够更精准、更高效地同时修复哺乳动物细胞内的多个致病突变，为开发广谱基因疗法奠定了重要基础。



新型逆转录酶基因编辑技术应用于人类细胞。橙色标记为成功编辑位点，绿色为线粒体荧光蛋白标签。图片来源：得克萨斯大学奥斯汀分校

?

许多遗传疾病，如囊性纤维化、血友病等，往往涉及基因组中多个突变。更复杂的是，即使是同种疾病的不同患者，其突变组合也可能各不相同。这种多样性使得开发通用型基因疗法面临巨大挑战。

由得克萨斯大学奥斯汀分校和犹他大学联合研发的这项新技术，不仅能同时修正哺乳动物细胞中的多种致病突变，还成功治愈了斑马鱼胚胎中导致脊柱侧凸的突变。这是科学家首次运用逆转录酶技术，在脊椎动物体内实现致病突变的精准修复，为人类疾病治疗开辟了新途径。

研究团队表示，现有基因编辑技术大多只能针对一两个特定突变，导致很多患者无法获得有效治疗。而新技术能用健康DNA片段整体替换缺陷区域，如同为基因“打补丁”，可修复该片段内的任意突变组合，不受个体遗传差异限制，让更多患者看到治愈希望。

相较于此前逆转录酶技术在哺乳动物细胞中仅1.5%的编辑效率，新技术将成功率提升至约30%。更值得一提的是，该技术可通过脂质纳米颗粒包裹的RNA递送系统实现，有效规避了传统基因编辑器在递送环节的难题。

目前，团队正运用该技术开发治疗囊性纤维化的基因疗法。这种疾病已知致病突变多达千余种。传统疗法往往只能针对最常见突变进行优化，而新技术能直接替换整个缺陷区域，有望让更广泛的患者群体受益。

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