
碱基编辑疗法对抗T细胞白血病效果显著

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/37174.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！

碱基编辑疗法对抗T细胞白血病效果显著。

科技日报北京12月11日电（记者张梦然）英国伦敦大学学院与大奥蒙德街医院联合团队宣布，他们开发出一种新的基因疗法，名为BE-CAR7，在对抗罕见的侵袭性血癌——T细胞急性淋巴细胞白血病（T-ALL）方面取得显著效果。这种基因疗法可改变细胞内单个“生命字母”——碱基，即利用碱基编辑技术改造免疫细胞，清除患者体内的白血病细胞，帮助多名此前无药可治的患者缓解病情。相关临床试验结果发表在最近的《新英格兰医学杂志》上。

碱基编辑技术是CRISPR技术的高级版本，其核心是对活细胞内的DNA编码进行极其精确的单字母修改。与传统的“基因剪刀”不同，这种技术更像是“分子铅笔和橡皮擦”，能够在不切断DNA双链的情况下，通过化学反应改变特定的碱基，从而降低染色体损伤的风险。

BE-CAR7细胞的制造过程堪称精密的细胞工程。团队首先从健康供体的白细胞中提取T细胞，然后利用定制的RNA、mRNA和慢病毒载体对其进行一系列改造，使其能够精准识别并锁定白血病T细胞上的CD7标志。

当这些经过“武装”的BE-CAR7细胞被注射到患者体内后，会迅速增殖并寻找目标，摧毁体内所有T细胞，包括导致疾病的白血病细胞。如果在约4周内能成功清除白血病灶，患者将接受骨髓移植，以重建免疫系统。

这项突破性疗法的首位受益者是来自英国莱斯特的16岁女孩阿丽莎。阿丽莎此前经过化疗和骨髓移植，病情依然未能缓解。2022年，当时13岁的她成为全球首位接受碱基编辑疗法的患者。在接受治疗后的一个月内，她体内的癌细胞就被成功清除。如今，她已经康复并重新融入了正常的青少年生活。

此次发布的数据还显示，在接受治疗的患者中，有82%实现了深度缓解，能够无病灶地接受干细胞移植；64%的患者保持无病状态，其中最早接受治疗的患者已3年无病征且停止了治疗。虽然治疗过程中会出现血细胞计数低、细胞因子释放综合征等预期副作用，但总体可控，主要风险来自于免疫力恢复期间的病毒感染。

这些研究证明了“通用型”碱基编辑疗法在对抗耐药性白血病方面的强大威力。目前，该临床试验仍在继续。

作者：张梦然 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](http://www.iikx.com)转发