
基因编辑直接在体内“改造”出抗癌细胞

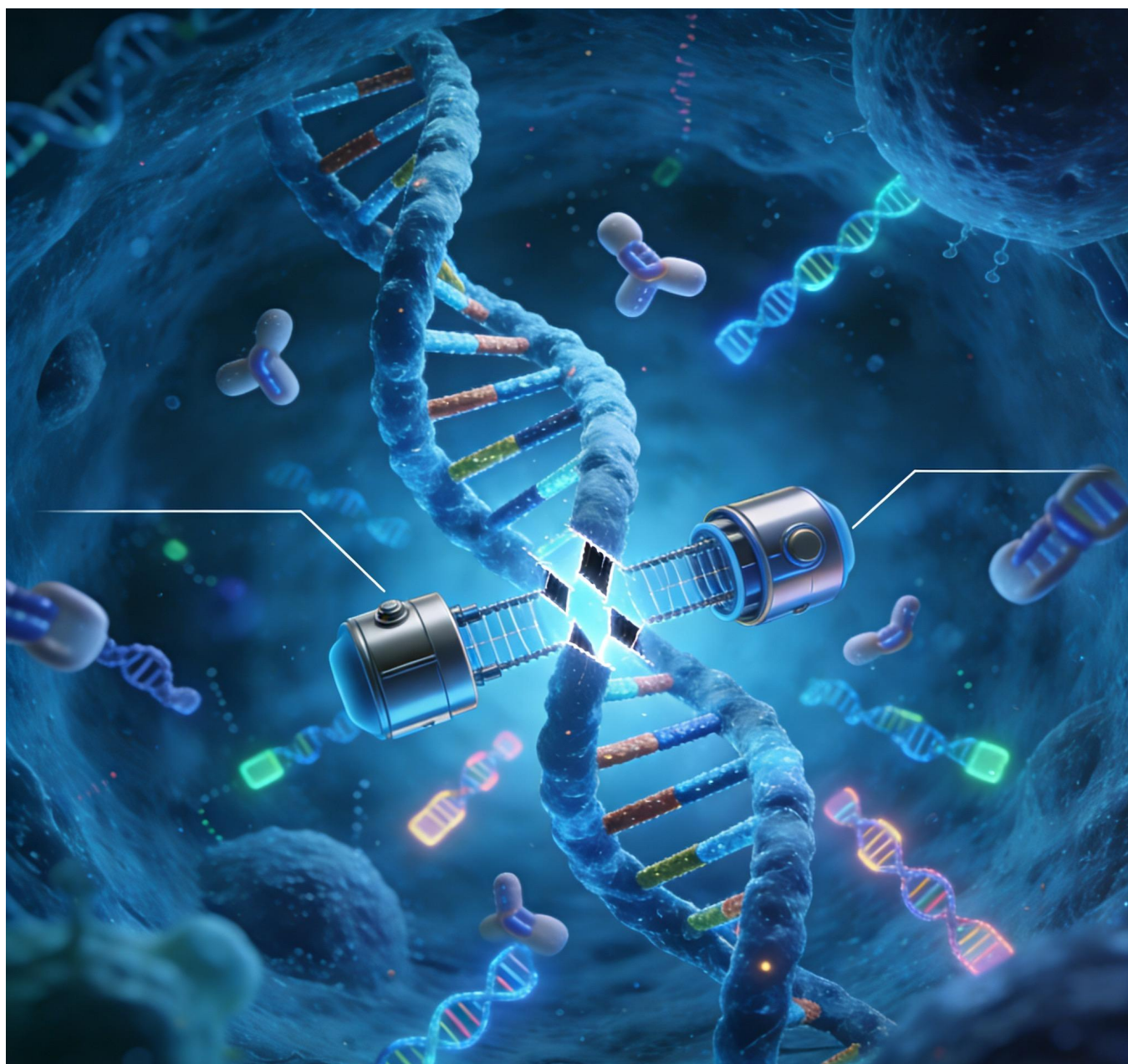
作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/39193.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！

基因编辑直接在体内“改造”出抗癌细胞

。科技日报讯（记者张梦然）美国加州大学旧金山分校参与的联合团队开发出一种突破性“体内药厂”方法，可绕过当前嵌合抗原受体T细胞（CAR-T）疗法中昂贵且耗时的体外制造流程，直接在患者体内“改造”出抗癌免疫细胞，为癌症治疗带来了新可能。这项研究发表在近期《自然》杂志上，标志着细胞与基因疗法向更普惠、更便捷的方向迈出了关键一步。



图片由AI生成

目前，CAR-T疗法是某些血癌的有效治疗手段。但该疗法需提取患者自身的T细胞，在专业实验室中通过基因工程为其装上识别癌细胞的“导航器”（即嵌合抗原受体CAR），然后再回输患者体内。整个过程耗时数周、费用高昂，且患者通常需先接受具有损伤性的化疗，许多患者因此无法获得治疗。

此次团队设计了一套精密的“双粒子”递送系统。其中，一个粒子表面带有能精准识别T细胞的抗体，确保基因编辑工具只作用于目标细胞；另一个粒子则携带着编码抗癌CAR的基因指令，并利用CRISPR-Cas9基因编辑技术，将其精确插入T细胞基因组的特定位置。这个位置确保CAR基因只能在T细胞中被激活表达，从而最大限度地降低了“脱靶”风险。

在患有侵袭性白血病、多发性骨髓瘤以及实体肉瘤的小鼠模型中，单次注射这种“双粒子”系统，就成功在体内生成了大量功能性CAR-T细胞。这些细胞在两周内几乎清除了所有可检测到的癌细胞，甚至在传统CAR-T疗法效果不佳的实体瘤方面也显示出潜力。

尤为引人注目的是，在体内直接生成的这些CAR-T细胞，其抗癌活性和持久性甚至可能优于在体外培养的同类细胞。这可能是因为细胞免受体外培养过程带来的一些功能损耗。

尽管前景广阔，但该技术仍需经过严格的人体临床试验来验证其安全性与有效性。如果未来能在人类临床试验中获得成功，则有望大幅降低治疗成本、缩短等待时间，并使更多社区医院有能力提供这种疗法，而不必仅限于大型癌症中心。

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](https://www.iikx.com)转发