人类胚胎又进行基因编辑，这次为揭示发育秘密

作者：writer 来源：科学网

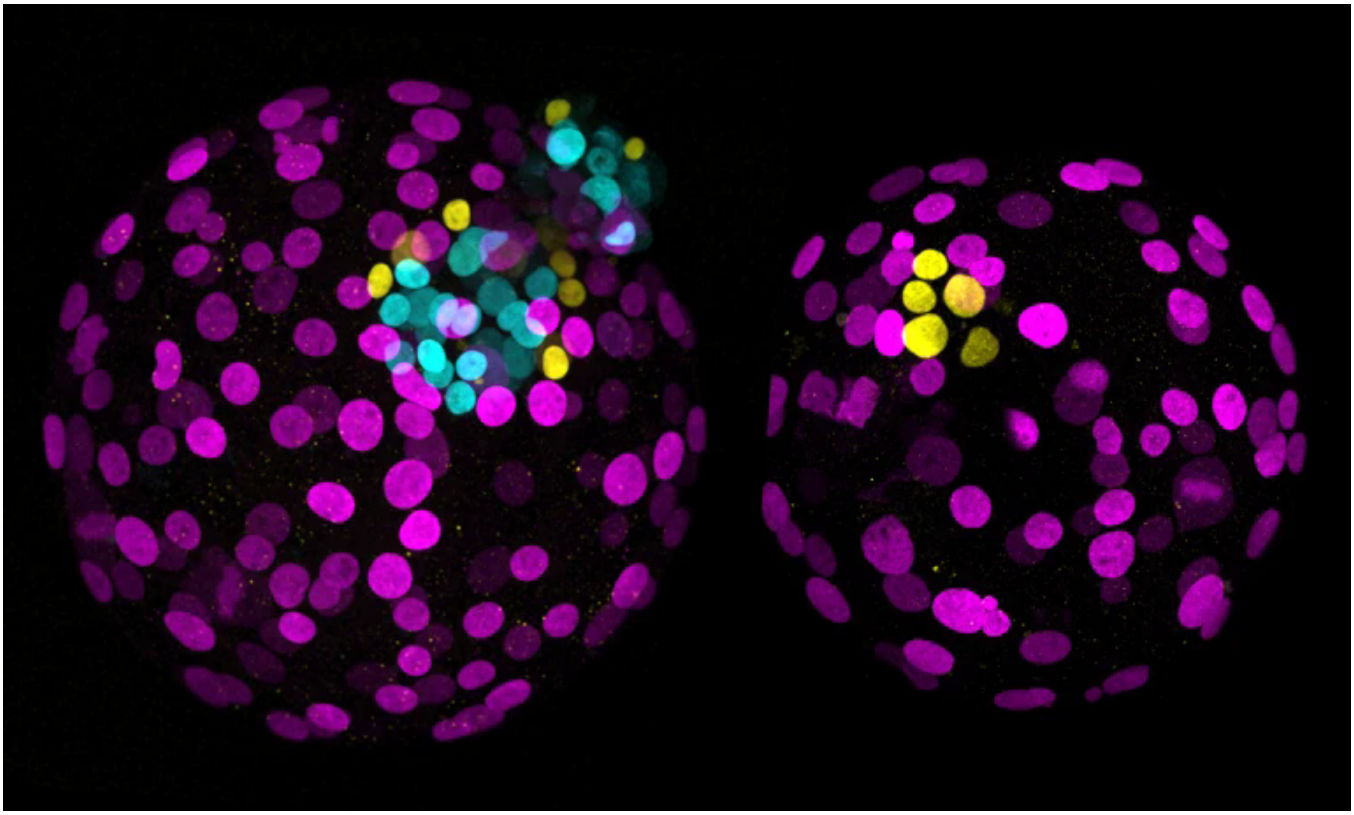
本文原地址：https://www.iikx.com/news/progress/40539.html

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！

人类胚胎又进行基因编辑，这次为揭示发育秘密。继美国哥伦比亚大学的Dieter Egli团队之后，第二个科研团队报告称，利用高精度基因编辑技术改造了人类胚胎DNA。相关论文6月25日发表于《自然》。但多名科研人员表示，该实验的成功，让关于胚胎基因编辑的伦理讨论变得更加紧迫。

这一次，英国剑桥大学的Kathy Niakan带领研究人员采用单碱基编辑技术来探究人类胚胎发育机制，而非研发遗传病预防手段。研究证实，一种名为NANOG的关键蛋白在人类胚胎发育中承担着小鼠实验未曾体现的独特功能。

加拿大多伦多儿童医院的Janet Rossant指出，这一发现凸显了直接研究人类胚胎的必要性，不能单纯依赖动物模型。如果想要优化生殖医疗技术，充分理解胚胎正常发育过程至关重要。



经过单碱基编辑、无法合成关键蛋白的人类胚胎（右），无法分化出能发育为人体组织与器官

的细胞团。正常胚胎（左）可清晰看到这类细胞（青色标记）。图片来源：英国剑桥大学

这类研究常常卷入舆论争议，公众担忧人类胚胎基因编辑会被用于阻断遗传病，更具争议的是改造智力等后天性状。英国肯特大学的Joy
Zhang表示，全球始终未形成界定哪种胚胎编辑行为可被允许的统一标准，现状令人无奈。

团队使用单碱基编辑技术敲除了编码NANOG蛋白的基因。实验所用的精子、卵子与胚胎均来自科研捐献，胚胎仅培养约1周时间。经过编辑的胚胎无法形成完整外胚层，也就是未来发育成人体各类组织的细胞团；但胚胎仍能分化出胎盘、卵黄囊等胚胎附属支撑结构的前体细胞。

此前小鼠实验显示，缺失NANOG蛋白就无法形成卵黄囊，而这次人类胚胎实验结果与之相悖，十分出人意料。

Niakan实验室此前曾使用普及度极高的CRISPR-Cas9技术，阻断人类胚胎中OCT4关键蛋白的合成。但CRISPR-Cas9会切断DNA双链，精准度远不及仅替换单个DNA碱基的单碱基编辑。Rossant解释说，这种精度缺陷会干扰实验结果解读——胚胎发育停滞，究竟是失去OCT4蛋白所致，还是CRISPR-Cas9引发非预期有害突变造成的？

6月两篇相关研究均证实，单碱基编辑对基因组的损伤更小。这能帮助科研人员厘清NANOG及其他蛋白在人类胚胎发育中的作用机制。

美国生物技术伦理与政策顾问Alta Charo表示，这或许意味着，未来在胚胎编辑预防遗传病方面，单碱基编辑的安全性会优于CRISPR-Cas9。但她强调，这仅仅是微小进步，距离达到可用于子宫移植胚胎的安全标准还有很大差距。

该技术仍存在大量安全难题亟待解决。例如，单碱基编辑等基因编辑工具往往只能改造胚胎的部分细胞，而非全部细胞的问题。因此胚胎会形成一种嵌合体，部分细胞基因被修改、部分保持原始状态，若这种胚胎发育为胎儿，其潜在后果完全未知。

Charo表示，这些技术难题暂时延缓了学界对可遗传基因编辑深层伦理问题的讨论。但这两项研究成果均表明，相关伦理议题无法永久回避，包括胚胎编辑在何种条件下符合伦理、人为制造可世代遗传的突变意味着什么。

英国哈佛大学的Glenn
Cohen表示，过去一两年，多家私营企业布局可遗传基因编辑领域，再次点燃了相关伦理辩论。

这篇论文作者之一Oliver Bower是美国生物技术公司Preventive的联合创始人，该公司专注研发安全胚胎编辑技术。而Egli团队的合作者包括美国基因检测公司Nucleus
Genomics，该公司主营胚胎遗传病筛查等基因检测业务。

Cohen提出，资本的介入可能会比公共科研经费更快推动相关技术迭代。但Bower认为媒体过度聚焦临床应用方向，存在认知偏差。现阶段讨论临床应用为时过早。在推进临床转化前，我们还需要完成海量的基础生物学与临床前研究。（来源：中国科学报 王方）

相关论文信息：https://doi.org/10.1038/s41586-026-10792-1

作者：Kathy Niakan 来源：《自然》

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