
科学家开发出基因编辑“安全剪刀”

作者：王琳琳 来源：新华社

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/5573.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！

科学家开发出基因编辑“安全剪刀”。有着神奇剪刀之称的基因编辑技术被视作攻克人类绝症的利器。国际学术期刊《自然》在线发表了我国科学家的最新成果，中科院脑智卓越中心杨辉团队及其合作者开发出一种编辑效果更精准的安全剪刀——ABE(F148A)，缩短了攻克罕见病的临床试验时间。

该团队首先对目前学术研究和临床上经常使用的多种基因编辑剪刀进行了全面检测，他们最新发现，现有剪刀不仅存在剪切失误风险，而且破坏了大量核糖核酸(RNA)，具有较高致癌风险。人类已知罕见病有7000多种，全球患者数亿人，约95%的罕见病无有效治疗药物，一旦得病终生伴随。科学界正尝试用基因编辑技术解决罕见病难题。理论上，利用基因编辑技术就能让患者重获健康。但由于剪切安全性无法保证，目前全球只有少数几种基因编辑“剪刀”开始临床试验。

杨辉说。为大幅降低基因剪刀的失误率、同时不破坏核糖核酸，该团队开发出了一种安全剪刀——ABE(F148A)，结果对比表明，安全剪刀不仅能够更加精准地剪切基因，而且不会误伤核糖核酸，致癌风险大大降低。业内专家认为，该基因编辑剪刀安全性更好，有望更快推向临床，第一步可用于治疗病情较严重的罕见病，例如地中海贫血、视网膜黄斑变性、遗传性耳聋等，而后可逐渐用于常见疾病治疗，例如心血管病、神经退行性疾病等。记者获悉，该成果目前已完成专利申请，正通过搭建动物模型生产平台、基因编辑治疗策略研发平台、临床试验及效果评价平台向临床与产业转化。(来源：新华社 王琳琳)

相关论文信息：<https://doi.org/10.1038/s41586-019-1314-0>

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