



基因疗法有望进入非洲

发布时间: 2019-10-29 14:58:06 分享到:

近日，美国两大生物医学研究资助机构——国立卫生研究院（NIH）和比尔及梅琳达·盖茨基金会计划在未来4年分别支出至少1亿美元，为世界医疗资源匮乏的地区——撒哈拉以南的非洲带去前沿的基因疗法。

两大机构旨在为该地区开展针对艾滋病病毒（HIV）和镰状细胞病的基因治疗试验计划。其目标是绕开昂贵的干细胞移植，用更简单廉价的手段研制出治愈这些疾病的基因编辑药物。

NIH主任Francis Collins在电话媒体会上表示这是一个大胆的计划，“但是如果我们现在不集中最优秀的智力、资源和意见，就无法履行为苦难中的病患带去最佳科学技术的天职”。

经过数十年的不懈努力，科学家开发出传递DNA到体内取代缺陷基因或促进蛋白质生产的基因疗法，目前正在接近临床阶段，未来有望治疗遗传性失明、神经肌肉疾病和白血病等。

动物实验和临床研究显示，通过基因疗法或诸如CRISPR等新型基因组编辑工具，还可以治疗在非洲流行的HIV和镰状细胞病等。

西北大学医学院血液科医生Alexis Thompson参与了部分镰状细胞疗法的测试，她把NIH和盖茨基金会的合作项目称作是“现象级的”，但也表示更棘手的需求是在非洲推广镰状细胞病的新生儿检查并使用抗生素治疗。

目前，因为镰状细胞会损害脾脏过滤细菌和制造抗体的功能，很多患儿5岁前就因细菌感染死亡。除非镰状细胞病患者能够存活更长时间，否则几乎无人能够接受新型基因疗法治疗。“就像学会跑步之前得先学会走路一样。”Thompson说。对此，盖茨基金会和NIH表示会在该项目外支持对新生儿检查。

对于HIV，治疗行动的强心剂来自于两例因干细胞移植而治愈的患者。这两名男性都患有血癌，需要专门寻找携带CCR5受体缺陷的捐赠者。成功移植后，残存在两名患者体内的HIV无法进入新的宿主细胞，最终消亡。

此次倡议希望能加速研发可直接注射的基因编辑成分，破坏血细胞中的CCR5基因。加州大学旧金山分校HIV研究带头人Steven Deeks表示：“该基因编辑技术的巨大潜能在于，可能最终只需要一次注射就能治愈所有人。”

此次合作还会尝试加速开发更多实验性干预疗法，从而直接从病患细胞内剪除HIV遗传物质或者令人体人工合成针对该病毒的超强抗体。Deeks表示，“目前这可能还只是科幻小说的情节，但某日可以成为现实。”

来源：中国科学报

