



“基因剪刀”治疗地中海贫血效果初现

发布时间: 2019-11-25 08:37:12 分享到:

新华社柏林11月23日电 (记者张毅荣) 德国雷根斯堡大学医院日前发布新闻公报说, 该院首次利用俗称“基因剪刀”的基因编辑技术治疗了一名β型地中海贫血患者, 并取得阶段性成果。

公报说, 这是全球第一个接受CRISPR/Cas9基因编辑技术治疗的β型地中海贫血病例。患者是一名20岁女性, 她在治疗前平均每年需要输血16次, 9个月前接受治疗后一直无需接受输血且血液指标正常。

“这些初步的中期成果在我们看来非常积极。”雷根斯堡大学医院主导这项研究的塞利姆-乔尔巴哲奥卢教授说, “对于无法接受其他疗法的患者来说, 这种疗法意味着治愈一种可怕疾病。”

β型地中海贫血是一种遗传性血液病, 患者体内血红蛋白异常, 红细胞无法向身体输送足够氧气。造血干细胞移植是目前临床唯一有效的疗法, 但找到合适的捐赠者并不容易。如果没有合适的捐赠者或有其他风险, 患者往往只能靠定期输血维持生命, 而输血也可能导致严重并发症甚至死亡。

本项研究中, 研究人员采用了由弗特克斯生物制药公司和CRISPR治疗公司联合开发的CTX001基因编辑疗法。他们先从患者体内提取造血干细胞, 在实验室编辑有关基因后, 把患者骨髓中有基因缺陷的干细胞杀死, 再将基因编辑过的干细胞输回患者体内, 让其生成正常的血细胞。

据介绍, 这是一项国际临床研究的一部分。美国、加拿大和欧洲的6个研究中心共计划招募45名β型地中海贫血患者, 并在治疗后随访两年以上。

雷根斯堡大学医院研究人员说, 除β型地中海贫血外, 他们还将用基因编辑疗法治疗血红蛋白异常导致的另一种遗传性血液病——镰状细胞病。4个月前在美国接受“基因剪刀”治疗的一名女患者病况已有所改善。

来源: 新华网

