



《细胞—干细胞》：基因疗法能治小鼠糖尿病

发布时间：2018-01-09 08:34:55 分享到：

I 型糖尿病是一种自体免疫性疾病，患者自身免疫系统会错误攻击并摧毁分泌胰岛素的贝塔细胞，从而导致血糖水平升高。近日，发表在新一期美国《细胞—干细胞》期刊上的研究揭示，一项新型胰腺内基因疗法成功让 I 型糖尿病小鼠的血糖水平恢复正常并维持相当长的一段时间。该疗法或具广阔前景。

该论文高级作者、美国匹兹堡大学医学院的George Gittes表示，“这项研究基本上是对临床可行的、简单单一干预自身免疫性糖尿病的第一个描述，该方法能让血糖正常，重要的是没有免疫抑制。此方法有望在可预见的未来应用于 I 型和 II 型糖尿病患者的临床试验，因为相关技术已有应用于患者的疗法。”

目前，世界上大约9%的成年人患有糖尿病，这可能导致严重的健康问题，如心脏病、神经损伤、眼部问题和肾脏疾病等。而 I 型糖尿病的一种治疗方式是保护和恢复功能性贝塔细胞，但贝塔细胞替代疗法注定无法成功，因为所注射的新细胞同样受到免疫系统攻击。为了解决相关问题，Gittes和第一作者肖向炜及同事，将携带两个重编码基因Pdx1和MafA的腺相关病毒载体通过胰导管，递送至 I 型糖尿病小鼠的胰腺，以便能将大量阿尔法细胞转化为能分泌胰岛素的功能性贝塔样细胞。

通过将正常的贝塔细胞和来源于阿尔法细胞的胰岛素生成细胞的基因表达模式进行对比，研究人员证实了该研究产生了几乎完全的细胞重编程。新生的贝塔样细胞与原生贝塔细胞有微小差别，对自身免疫攻击相对有抵抗力。经单次治疗后，I 型糖尿病小鼠的血糖恢复至正常水平，并维持长达 4 个月。此外，该策略还成功地从人类细胞中产生了功能性贝塔样细胞。



“基因疗法似乎创造出这些新胰岛素生成细胞，而且它们能抵抗自身免疫攻击。这种特性似乎是由于新细胞与正常细胞略有不同，但并没有完全不同。” Gittes说。不过，4个月后，小鼠又重新恢复高血糖，说明此基因疗法对I型糖尿病尚无法根治。

目前，该研究团队已经在非人类灵长类动物中开展类似实验，并获得较好的治疗效果。研究人员表示，下一步，团队准备在I型和II型糖尿病患者中开展该基因疗法临床试验。

来源：科学网

[联系我们](#) | [人才招聘](#)

© 版权所有 中国实验动物学会 京ICP备14047746号 京公网安备11010502026480

地址：北京市朝阳区潘家园南里5号（100021） 电话：010 - 67776816 传真：010 - 67781534 E-mail: calas@cast.org.cn

技术支持：山东瘦课网教育科技股份有限公司

| [站长统计](#)

