



## 科学家研发出新型人工合成DNA载体 预示从基因层面治疗疾病的药物或将很快面世

文章来源：科技日报 刘霞

发布时间：2010-11-30

【字号：小 中 大】

据美国《未来学家》双月刊11月—12月刊（提前出版）报道，欧洲研究协调局（EUREKA）的科学家研发出一种可携带DNA的新化合物，预示一种从基因层面治疗疾病的药物很快会变成现实，这一突破标志着携带DNA的新型药物试剂即将首次推出。

基因治疗是指将新的遗传信息转移至受损或患病的细胞核中，给细胞重新编程，以此来修复受损的细胞。目前，科学家进行基因治疗时通常采用三种载体来转移基因：病毒载体、逆转录病毒载体、非病毒类或合成试剂载体。

病毒转移基因法依靠“感染”来实现，它是目前将新遗传信息转入细胞的最有效方法，但会在转移过程中给细胞注入很多不利信息，因此这种转移方法风险非常高。尽管非病毒或者使用合成试剂进行基因转移的方法更可能被身体所接受，但这种方法在将新的DNA注射进入细胞方面的效率并不高，且合成试剂很难实现大批量生产。

与其他合成载体相比，EUREKA项目团队研制出的新化学试剂能够更有效地将DNA递送进细胞核中，并且更容易批量生产。

项目组成员、芬兰赫尔辛基大学药物研发中心主任奥托·厄提解释说，当这些化合物处于溶液状态并且向其中添加DNA时，它们会结合在一起。这个大的、松散的DNA分子会分解，和载体结合形成一些直径约为10纳米到50纳米的粒子。当将粒子送往细胞时，纳米粒子聚集在细胞表面，细胞表面向内折叠，在细胞内形成一个泡囊，接着，粒子会从泡囊中逃逸，释放出DNA。

美国奇点大学科学家安德鲁·塞尔表示，基因组合成和组配技术方面的进步一日千里，但进行基因治疗的工具非常简陋。科学家表示，在基因疗法这个数十年来经历过失败和失望的领域，上述突破让人看到了希望。虽然自1959年以来，人们就了解了改变DNA的技术，而且科学家希望基因疗法能在治疗癌症、艾滋病甚至心脏病中发挥作用，但它实际上未治愈任何一种疾病。不过，有个别例子表明，基因疗法在与其他疗法结合使用时发挥过积极作用。

打印本页

关闭本页