

作者: 孟含琪 高楠 来源: 新华社 发布时间: 2018/7/20 9:27:31

选择字号: 小 中 大

## 中国科学家培育出单碱基突变遗传性疾病动物模型

新华社长春7月19日电（记者孟含琪、高楠）记者从吉林大学了解到，近日吉林大学动物医学学院赖良学团队利用新型单碱基编辑系统成功对家兔实现单碱基精确突变，培育出具有白化病、早衰症等遗传性疾病模型兔，这代表人类距离基因治疗时代更近一步。

团队成员、吉林大学动物医学学院博士李占军介绍，白化病、早衰症等遗传性疾病都是由于基因组发生单碱基突变所致。由于遗传性疾病产生的原因是先天性基因组缺陷，传统药物对其治疗无效。采取基因治疗方法，即直接修复基因组上的单碱基突变是最佳的治疗手段。现行的基因治疗技术手段还无法满足临床治疗的要求。

赖良学团队利用国际上最新使用的新型“碱基编辑器”（Base editor, BE3和ABE），在国际上率先在模式动物兔上改变单个碱基，精确地模拟出人类单碱基突变遗传病中的无义突变、错义突变和RNA错误剪切，成功培育出自白化病、早衰症、双肌臀等疾病模型兔。家兔在遗传、生理及解剖上比较接近人类，因此成果标志着人类距实现基因治疗该类遗传性疾病更近一步。

该团队能在国际上率先在模式动物兔上改变单个碱基，源于多年来利用基因编辑进行生物医药和动物育种研究所积累的经验。基因编辑专家、上海科技大学教授黄行许认为，该研究证实了利用碱基编辑器进行安全、精确、高效基因治疗的可行性。该成果已在国际知名刊物《自然-通讯》发表，该研究得到了国家重点研发计划“干细胞及转化研究”专项资助。

下一步，赖良学团队会尽快将该技术成果应用于人类遗传病的分子治疗，与其他研究单位合作开展相关疾病的临床前研究，也会继续开发、优化新型基因编辑系统，用于复杂遗传性疾病模型的构建及基因治疗。

**特别声明：**本文转载仅仅是出于传播信息的需要，并不意味着代表本网站观点或证实其内容的真实性；如其他媒体、网站或个人从本网站转载使用，须保留本网站注明的“来源”，并自负版权等法律责任；作者如果不希望被转载或者联系转载稿费等事宜，请与我们接洽。

打印 [发E-mail给:](#)

以下评论只代表网友个人观点，不代表科学网观点。

目前已有0条评论

[查看所有评论](#)

需要登录后才能发表评论，请点击 [\[登录\]](#)



- |   |   |
|---|---|
| 相关新闻  | 相关论文  |
| <a href="#">1 基因突变，让树鼩也能吃辣</a>              | <a href="#">1 基因突变，让树鼩也能吃辣</a>              |
| <a href="#">2 自闭症儿童可能遗传父系DNA突变</a>          | <a href="#">2 自闭症儿童可能遗传父系DNA突变</a>          |
| <a href="#">3 自闭症或因继承父亲基因突变</a>             | <a href="#">3 自闭症或因继承父亲基因突变</a>             |
| <a href="#">4 一个基因的突变促成了人脑的进化？</a>          | <a href="#">4 一个基因的突变促成了人脑的进化？</a>          |
| <a href="#">5 科学家首次绘制出中国乳腺癌人群相关基因通路突变图谱</a> | <a href="#">5 科学家首次绘制出中国乳腺癌人群相关基因通路突变图谱</a> |
| <a href="#">6 基因突变可能引起失眠 失眠可能遗传</a>         | <a href="#">6 基因突变可能引起失眠 失眠可能遗传</a>         |
| <a href="#">7 对症遗传病，第一例基因治疗来得晚了些</a>        | <a href="#">7 对症遗传病，第一例基因治疗来得晚了些</a>        |
| <a href="#">8 走近“颠覆性技术”：基因治疗何时惠及大众</a>      | <a href="#">8 走近“颠覆性技术”：基因治疗何时惠及大众</a>      |

### 图片新闻



[>>更多](#)

### 一周新闻排行

### 一周新闻评论排行

- |                           |                           |
|---------------------------|---------------------------|
| 1 《科学》发表上海科技大学重大研究成果      | 1 《科学》发表上海科技大学重大研究成果      |
| 2 颜宁小组《科学》发文 解析河鲀毒性为何强    | 2 颜宁小组《科学》发文 解析河鲀毒性为何强    |
| 3 2018年度“香江学者计划”获选结果公布    | 3 2018年度“香江学者计划”获选结果公布    |
| 4 “万人计划”青年拔尖人才科技部平台申报     | 4 “万人计划”青年拔尖人才科技部平台申报     |
| 5 袁亚湘院士：晚两三年高考 生活也彻底不同    | 5 袁亚湘院士：晚两三年高考 生活也彻底不同    |
| 6 西安电子科大撤销雷磊硕士学位 因论文抄袭    | 6 西安电子科大撤销雷磊硕士学位 因论文抄袭    |
| 7 两院院士出入境可使用“特别通道”优先通行    | 7 两院院士出入境可使用“特别通道”优先通行    |
| 8 幽门螺杆菌的“双面人生”            | 8 幽门螺杆菌的“双面人生”            |
| 9 北大部分专硕新生需自行解决住宿 校方回应    | 9 北大部分专硕新生需自行解决住宿 校方回应    |
| 10 2018中德博士后交流项目第一轮获选结果公布 | 10 2018中德博士后交流项目第一轮获选结果公布 |

[更多>>](#)

### 编辑部推荐博文

- 大学老师的暑假，怎么过才更有价值？
- 没有理论的学科会怎么样
- 7月高教关键词：科研自主权 教育公报 金砖教育
- 创新疫苗监管机制的建议
- 爱犯错的智能体 — 视觉篇(四)：看得见的斑点狗
- 人工智能国际竞争态势中的中国高校：何为VS为何

[更多>>](#)

## 论坛推荐

- AP版数理物理学百科 3324页
- 物理学定律的特性 feynman
- 波恩的光学原理
- 弦论的发展史
- 时间与物理学
- 矩阵分析 霍恩 (Roger A. Horn)著

[更多>>](#)[关于我们](#) | [网站声明](#) | [服务条款](#) | [联系方式](#) | 中国科学报社 京ICP备07017567号-12 京公网安备110402500057号

Copyright © 2007-2018 中国科学报社 All Rights Reserved

地址：北京市海淀区中关村南一条乙三号

电话：010-62580783