



www.most.gov.cn

科学家通过递送mRNA改造体内造血干细胞

日期：2023年08月22日 09:30 来源：科技部生物中心 【字号：大 中 小】

造血干细胞具有长期自我更新的能力和分化成各类成熟血细胞的潜能。通过健康的造血干细胞移植可以使患者造血干细胞“焕新”。然而，目前的移植方案往往存在副作用，而且使用机会有限。美国宾夕法尼亚大学利用脂质纳米颗粒（LNP）封装递送mRNA以改造体内造血干细胞。该项研究成果于近日发表在《Science》杂志上，题为：In vivo hematopoietic stem cell modification by mRNA delivery

研究人员开发了一种封装mRNA的LNP，装载可靶向识别造血干细胞上的干细胞因子受体（CD117）的抗体，称为CD117/LNP-mRNA。体外测试显示，利用CD117/LNP递送系统可高效治疗镰刀型细胞贫血症，达到功能性治愈疾病的水平。研究人员还利用CD117/LNP在小鼠体内递送促凋亡的p53上调凋亡调节因子（PUMA）mRNA，结果显示该过程会影响造血干细胞的功能，有效耗竭造血干细胞，为造血干细胞移植进行无毒性处理。

综上，该体内靶向递送系统为造血干细胞移植提供了一种无毒性处理方案，为多种遗传性疾病提供了潜在治疗手段。

注：此研究成果摘自《Science》，文章内容不代表本网站观点和立场。

扫一扫在手机打开当前页



打印本页

关闭窗口

