

作者: 黄辛 来源: 中国科学报 发布时间: 2013-12-9 8:52:28

选择字号: [小](#) [中](#) [大](#)

基因技术治愈小鼠白内障遗传疾病

为人类基因治疗提供新思路

本报讯 (记者黄辛) 中科院上海生物化学与细胞生物学研究所李劲松研究组在最新研究中, 利用CRISPR-Cas9技术, 治愈了小鼠的白内障遗传疾病。专家认为, 这项实验为人类基因治疗提供了一条新思路。12月5日, 相关成果在线发表于《细胞—干细胞》杂志。同时, 该成果被国际杂志《科学家》选择进行同期新闻发布。

CRISPR-Cas9技术是利用一段与靶序列相同的单导向RNA (sgRNA) 来引导Cas9核酸酶对特异靶向DNA进行识别和切割, 造成DNA的双链或单链断裂, 然后, 细胞会利用自身具备的两种修复机制对断裂的DNA进行修复, 即非同源性末端接合 (NHEJ) 或同源介导修复 (HDR)。

为验证这项技术能否用于高效治疗遗传病, 研究者选择小鼠白内障遗传疾病模型进行研究。这批模型小鼠携带显性突变的Crygc基因, 眼睛会产生变性的晶状体蛋白而发生混浊。研究人员设计出针对突变基因的单导向RNA, 将它与核酸酶直接注入受精卵, 发现1/3新生小鼠的白内障症状得到治愈。白内障小鼠治愈后, 也能通过生殖细胞将修复的基因传递给下一代, 证明白内障遗传疾病可被根治。

研究人员根据sgRNA同源程度, 预测存在10个潜在脱靶位点, 并对这些位点进行测序发现, 12只治愈的小鼠中只有两只在一个位点上存在脱靶现象。

李劲松表示: “今后的研究还需要进一步提高治愈的效率, 避免出现脱靶。”

《中国科学报》 (2013-12-09 第1版 要闻)

[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。

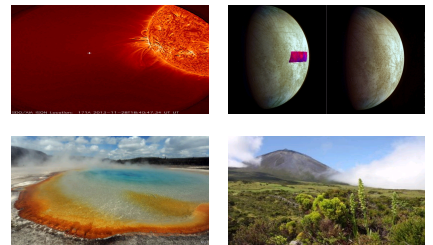
还没有评论。

[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](#)

- 1 食蟹猴孤雌单倍体胚胎干细胞系建立
- 2 华南进入白内障手术新时代
- 3 中大眼科中心发布新技术 白内障手术不用“刀”
- 4 小鼠孤雌单倍体胚胎干细胞系首次建立
- 5 李劲松小组揭示克隆动物出生率低关键原因
- 6 美机构称美人均寿命延长但应注意预防白内障
- 7 植入新型人工晶体 白内障患者或有“超级视力”
- 8 德国科学家为动物量身定制“隐形眼镜”

[图片新闻](#)

[>>更多](#)
[一周新闻排行](#)
[一周新闻评论排行](#)

- 1 管敏鑫被“解聘”追踪: 海归土鳖之争?
- 2 去年八成中国SCI论文发表在国外期刊上
- 3 南京大学物化书吓到文科妹 引发文理科大讨论
- 4 王中林院士获美国物理学会新材料大奖
- 5 诺奖得主抨击三大期刊选材浮华只吸引眼球
- 6 大学生吐槽高校寒假排行榜: 最长最短相差21天
- 7 教育部中科院: 为世界培养一流的科学家
- 8 上海科技大学明年首招500名本科生
- 9 张益唐获2014年科尔数论奖
- 10 诺奖得主希格斯: 青年要关注基础科学学习

[更多>>](#)
[编辑部推荐博文](#)

- “学术谱系”模块测试版上线
- 科研经费迷途: 潜规则下的扭曲人性
- 科技评价中必须要处理好的几个重要问题
- 读报随想8: 为加快高校去行政化叫好
- Iris' plant illustration 3 and origami
- 达尔文地雀的麻烦

[更多>>](#)
[论坛推荐](#)

- 英汉构造地质学专业词汇

- 八份教改项目申请书
- J. Rotman. -
.A. first. course. in. abstract. algebra. pdf
- 倡导低碳生活, 2014年日历电子版
- 关于Logistic回归统计算法的matlab实现
- Plant Invasions in Protected Areas

[更多>>](#)