

[收藏本站](#)[设为首页](#)[English](#)[联系我们](#)[网站地图](#)[邮箱](#)[旧版回顾](#)

面向世界科技前沿，面向国家重大需求，面向国民经济主战场，率先实现科学技术跨越发展，率先建成国家创新人才高地，率先建成国家高水平科技智库，率先建设国际一流科研机构。

——中国科学院办院方针


[首页](#) [组织机构](#) [科学研究](#) [人才教育](#) [学部与院士](#) [资源条件](#) [科学普及](#) [党建与创新文化](#) [信息公开](#) [专题](#)
[搜索](#)
[首页 >](#) 科研进展

遗传发育所等在灵长类疾病模型建立研究中取得进展

文章来源：遗传与发育生物学研究所 发布时间：2015-04-20 【字号：[小](#) [中](#) [大](#)】

[我要分享](#)

杜氏肌萎缩症疾病（DMD）是一种X染色体连锁隐性遗传疾病，因肌蛋白dystrophin的基因突变造成dystrophin功能丧失而引起。发病率率为活产男婴的1/30000。该病随年龄增长而出现持续加重的肌萎缩，最终致死。目前，对于DMD尚无有效疗法。

中国科学院遗传与发育生物学研究所李晓江研究组与云南中科灵长类生物医学重点实验室季维智团队合作，通过应用最新的CRISPR/Cas9基因打靶技术和改进实验方法，建立了杜氏肌萎缩症疾病猕猴模型，共获得11只携带dystrophin基因突变的新生猴。分析困难产而死亡猴的肌肉组织发现，CRISPR/Cas9介导的嵌合打靶突变可使dystrophin蛋白表达明显下降或消失，并表现出类似于DMD病人早期出现的肌肉细胞退化的病理特征。

继CRISPR/Cas9基因打靶技术在非人灵长类动物中成功实现了特定基因的靶向修饰之后，该项研究首次证明CRISPR/Cas9基因打靶技术可功能性地敲除猴基因，进而模拟病人病理变化。同时，DMD猴模型亦可为今后进一步揭示DMD疾病的早期重要病理变化及为该疾病的早期干预性治疗提供重要的动物模型。

该研究结果于4月9日在线发表在*Hum Mol Genet.*。李晓江研究组的助理研究员郑英慧和博士研究生杨伟莉作为共同第一作者参与此研究。该研究得到了科技部“973”项目、中科院先导B项目及分子发育生物学国家重点实验室经费的资助。

[文章来源](#)

(责任编辑：叶瑞优)

热点新闻

中科院与北京市推进怀柔综合性...

中科院党组学习贯彻《中国共产党纪律处分条例》
发展中国家科学院第28届院士大会开幕
14位大陆学者当选2019年发展中国家科学...
青藏高原发现人类适应高海拔极端环境最...
中科院举行离退休干部改革创新形势...

视频推荐



【新闻联播】“率先行动”计划 领跑科技体制改革



【北京卫视】北京市与中科院领导检查怀柔科学城建设进展 巩固院市战略合作机制 建设世界级原始创新承载区

专题推荐



© 1996 - 2018 中国科学院 版权所有 京ICP备05002857号 京公网安备110402500047号 联系我们

地址：北京市三里河路52号 邮编：100864