



美国研发艾滋病基因疗法：体内修复疾病基因突变

发布时间：2019-10-28 09:55:50 分享到：



新浪科技讯 北京时间10月28日消息，据国外媒体报道，美国国立卫生研究所（NIH）昨日宣布，该机构将在今后四年内投资1亿美元，力争用基因疗法治愈艾滋病和镰状细胞病（即贫血）。为此，美国国立卫生研究所将与比尔及梅琳达·盖茨基金会合作，该基金会也将为这一项目投资1亿美元。此次合作的主要目标是，让全世界人民都能承担起治疗费用、且具备获得治疗的途径，尤其是在疾病负担最重的发展中国家。

该机构计划在接下来7至10年之内做好在美国和撒哈拉以南非洲开展临床试验的准备。

目前全球约有3800万人感染HIV病毒，其中大多数都生活在发展中国家，约三分之一居住在撒哈拉以南非洲地区，镰状细胞病也是如此。

数十年来，美国国立卫生研究所一直在努力寻找治愈艾滋病的方法。虽然目前使用的抗逆转录病毒疗法能够有效抑制体内病毒，但无法真正治愈艾滋病，并且必须每日服药才能保证疗效。此外，全球有多达数百万人并不具备接受抗逆转录病毒疗法的条件。

虽然科学家们正在研发针对艾滋病毒的基因疗法，但这些疗法往往成本高昂，无法大规模实行。例如，有些疗法需要将细胞从患者体内取出，然后重新注入体内，成本既高、耗时又长。

出于这一原因，此次开展的新项目将着重研发“体内”疗法，如移除细胞中的CCR5受体基因（HIV病毒正是利用CCR5受体侵入细胞的）。还有一种设想是设法清除细胞中的HIV原病毒DNA。HIV病毒会将这些DNA复制到人类细胞基因组中，即使接受了治疗，也能在其中潜伏数年之久。

该机构对镰状细胞病也订立了类似的目标：通过体内疗法修复导致该疾病的基因突变。这需要科学家研发一套以基因为基础的药物输送系统，专门针对变异基因进行治疗。

但为了确保这些新疗法安全有效，科学家还需要开展大量工作。就在几个月前，特朗普政府刚刚宣布了一项计划，称要在10年内终结HIV病毒在美国的传播。

来源：新浪科技

