

作者: 张佳欣 来源: 科技日报 发布时间: 2023/7/5 8:29:11

选择字号: 小 中 大

碱基编辑治疗特殊贫血症显优势

科技日报北京7月4日电 (记者张佳欣)通过基因疗法改变血红蛋白基因,或可治愈镰状细胞病(SCD)和 β 地中海贫血。据3日发表在《自然·遗传学》上的论文,美国圣裘德儿童研究医院、麻省理工学院博德研究所和哈佛大学科学家使用腺苷碱基编辑器,在SCD患者细胞中重新启动胎儿血红蛋白的表达。与使用CRISPR-Cas9基因组编辑技术相比,该方法能使胎儿血红蛋白的表达水平更高、更稳定且更均匀。

SCD和 β 地中海贫血是两种常见的危及生命的贫血症,困扰着全球数百万人。血红蛋白是编码携带氧气的蛋白分子,成人血红蛋白的一个亚基的基因突变导致了这些疾病。

成人血红蛋白主要在新生儿出生后表达,含有4个蛋白质亚基,即两个 β -珠蛋白和两个 α -珠蛋白。 β -珠蛋白基因的突变会导致镰状细胞病和 β 地中海贫血。但人类还有另一个血红蛋白亚单位基因,即 γ -珠蛋白,它在胎儿发育过程中表达。 γ -珠蛋白与 α -珠蛋白结合形成胎儿血红蛋白。正常情况下,在出生前后, γ -珠蛋白的表达被关闭,而 β -珠蛋白被打开,从胎儿血红蛋白切换到成人血红蛋白。

现在,研究人员找到并优化了有效提高胎儿血红蛋白水平的基因编辑技术。腺苷碱基编辑引入的突变,重新启动 γ -珠蛋白基因,从而增加胎儿血红蛋白的产生,这可有效地替代有缺陷的成人血红蛋白的产生。研究发现,在 γ -珠蛋白启动子中最有效的位点使用碱基编辑,可实现比CRISPR-Cas9编辑高2—4倍的血红蛋白水平。

圣裘德医院血液科主任米切尔·韦斯医学博士表示, γ -珠蛋白基因是碱基编辑的良好靶点,因为有些非常精确的突变可在新生儿出生后重新激活其表达,这有望成为治疗导致SCD和 β 地中海贫血的所有突变的强大工具。

变形的血细胞,可以防范疟原虫的入侵,因此相应的基因在蚊子猖獗的地区被保留至今。但这个基因也削弱了携带者的输氧能力。镰状细胞病带来剧烈疼痛;重型地中海贫血患者需要每周输血一次,且终身服药。随着基因疗法的进步,我们很可能在生命早期扭转这种厄运。一旦成功,将是现代医学取得的最大成就之一。

(原标题:超越“基因魔剪”CRISPR-Cas9 碱基编辑治疗特殊贫血症显优势)

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事宜,请与我们联系。

打印 发E-mail给: 

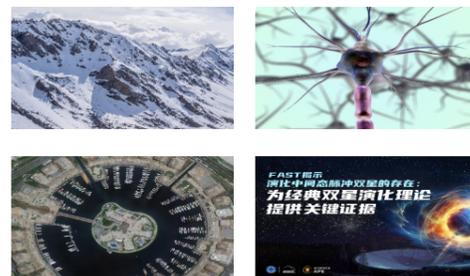
2023年优青招聘专场

相关新闻

相关论文

- 1 首位转基因猪心移植患者心衰原因公布
- 2 直播|电子科大教授讲述基于蚕丝蛋白的智能电子
- 3 真核生物中类“基因魔剪”机制首次揭示
- 4 小小纳米孔破解蛋白质测序难题
- 5 北京发布生命科学前沿创新培育专项技术需求榜单
- 6 科学家回信|钱前:关键基因影响“绿色革命”
- 7 香港大学开发全球首个筛选精确基因编辑工具平台
- 8 科学家创制广谱抗病基因 稳产防控“水稻癌症”

图片新闻



>>更多

一周新闻排行

- 1 本科毕业生一作发顶刊,独立完成9成工作量
- 2 颜宁:问了20多位同学,没有一个让我眼前一亮
- 3 丘成桐:我曾多次参加毕业典礼,这次最为荣幸
- 4 王中林再获大奖:开创让西方跟随的研究领域
- 5 湖底寻踪,他们揭开“全新世温度之谜”
- 6 水系钠离子电池相关研究获新进展
- 7 我写了一本有关精确史的书,但我不喜欢精确
- 8 基金委交叉学部公布杰青等4项目会评专家名单
- 9 牙齿不好影响脑健康
- 10 女性科研人员申请“杰青”放宽到48岁

编辑部推荐博文

- 科学网6月十佳博文榜单公布!你的上榜了吗?
- 纺织大师之八: Postle
- 英文学术论文写作的六个层次
- 2023年夏季青藏高原考察:亚东县则里拉
- 人类完全能听到完全的寂静
- 新方法实现高效平面钙钛矿太阳能电池

更多>>