

作者: 冯维维 来源: 中国科学报 发布时间: 2024/2/29 16:41:28

选择字号: [A](#) [A](#) [A](#)

## 一步到位沉默一个小鼠胆固醇基因

意大利科学家在一项小鼠研究中展示了无需永久性基因组编辑,也可对一个控制胆固醇水平的基因做到长效抑制。这一靶向表观遗传沉默(不用直接改变DNA序列就可改变基因功能)的效果在小鼠中持续近1年,令循环胆固醇水平下降。研究结果展示了表观遗传沉默治疗疾病的潜力。相关研究近日发表于《自然》。

改变疾病相关基因的表达有望治疗人类疾病。基因组编辑方法已经取得了一些成功,但有人担心破坏DNA引入序列变化可能会导致不需要的变异或意料之外的脱靶活性。表观遗传编辑是一个有吸引力的替代方案,它改变修饰DNA的化学组却不改变基因序列,但持续沉默目标基因仍难以实现。

IRCCS圣拉斐尔科学研究所的Angelo Lombardo和同事描述了一种方法以沉默小鼠Pcsk9基因,这个基因会产生一个蛋白质,能促进一种称为低密度脂蛋白的胆固醇的蛋白受体降解。他们筛选了能识别目标基因的不同DNA结合平台,发现锌指蛋白效果最好。

然后他们使用脂质纳米粒子递送表观遗传编辑装置到小鼠的血流,脂质纳米粒子进而循环到肝脏。一次注射表观遗传修改器能实现有效、持续沉默小鼠的Pcsk9基因,几乎减半了循环PCSK9蛋白水平长达330天(实验结束时)。进一步改进该方法可降低PCSK9水平至传统基因编辑的水平(高达75%)。

研究者指出这些发现是一种概念验证,还需要更多研究。他们认为经过进一步评估,这一平台或可为开发使用表观遗传沉默的疗法建立基础。

相关论文信息:

<https://doi.org/10.1038/s41586-024-07087-8>

版权声明:凡本网注明“来源:中国科学报、科学网、科学新闻杂志”的所有作品,网站转载,请在正文上方注明来源和作者,且不得对内容作实质性改动;微信公众号、头条号等新媒体平台,转载请联系授权。邮箱:shouquan@stimes.cn

打印 发E-mail给:  [GO](#)

### 相关新闻

- 1 新技术通过平流层“脱水”为地球降温
- 2 淀粉“乐高”可减少食物卡路里和碳水化合物含量
- 3 吉林省科协发布1项课题申报通知
- 4 这种病短期内无法治愈!“只能往前走,不能往后退”
- 5 新研究揭示霾天的合适定义和健康危害
- 6 “蛟龙号”首潜大西洋 创造九天九潜新纪录
- 7 “海洋牧场智能管控系统”研发取得阶段性成果
- 8 DART撞击后双卫一或被重塑

### 图片新闻



>>更多

### 一周新闻排行

- 1 西安交通大学领导班子调整
- 2 植物中的“外星人”有名字了!
- 3 施一公:西湖大学已产出30余项世界首次原创突破
- 4 4位院士委员获2023年度全国政协委员优秀履职奖
- 5 质子质量的起源研究获进展
- 6 重庆15所高校拟新增博士硕士学位授权点
- 7 新研究可快速合成稀土荧光粉-玻璃复合材料
- 8 他实现了找矿理论和实践双突破
- 9 黄波团队在记忆性T细胞形成机制研究方面获新进展
- 10 激动人心!农业“国之重器”从蓝图走向现实

### 编辑部推荐博文

- 科学网2024年1月十佳博文榜单公布!
- 超导的量子飞跃:哈佛大学的高压突破
- 用于纳米催化剂保护和可控合成二氧化硅封装策略
- 含氟表面活性剂助力高性能锂离子热电化学电池
- Hebb的突触学习定律
- 非编码 RNA 在黄病毒传播和致病性中的作用

更多>>