

作者：王赛特 来源：科技日报 发布时间：2009-4-8 15:17:25

小字号

中字号

大字号

科学家用抗转录疗法治愈DMD疾病

一个国际性研究小组近日成功地对犬类假肥大型肌营养不良症(DMD)进行了治疗。DMD是一种可快速发展并最终致命的疾病，每3600个男孩中就有一个该病的患者。研究人员使用了一种称为外显子跳跃的新技术恢复了与DMD相关基因的部分功能。此项发表在《神经学年鉴》(*Annals of Neurology*)上的研究成果，为以类似方法治疗人类DMD带来了希望。

DMD是由编码抗肌萎缩蛋白的基因发生畸变引起的，抗肌萎缩蛋白是肌肉细胞中的一种重要结构蛋白。

不像传统基因疗法试图用一个功能性副本来取代突变基因，外显子跳跃则是依赖一种称为抗转录的改进技术，设计合成DNA或RNA小分子，再将这些小分子嵌入DNA或RNA的特定区域，从而阻断其功能。目前，已有企业正在开发癌症、糖尿病、心脏病及自身免疫性疾病等的抗转录疗法。

这种方法源自于DMD与一种较温和的Becker型肌营养不良症(BMD)的对比。当患者丢失部分抗肌萎缩蛋白基因的外显子(编码蛋白质的DNA区域)时就会引起这两种疾病。但奇怪的是，某些丢失了更多基因片段的BMD患者却要比DMD患者健康得多。几年前，科学家们发现，两者的不同并不在于基因缺失的多少，而在于这些缺失成分如何影响保留的基因序列。大多数DMD患者都有移码突变，这会干扰细胞读取3个字母的DNA编码。这些缺失将存留的DNA序列转变成不同的3个组别，使得基因无法被读取。在BMD患者身上，存留的DNA仍然可以正常读取，使得它们产生虽很小但尚具功能的抗肌萎缩蛋白。

论文第一作者、美国全国儿童医疗中心的艾瑞克·霍夫曼表示，将存留的编码返回入序列，基本上就能重建较温和的BMD，以此种方式创建一个“补丁”以阻断部分基因的转录，将会对DMD患者有所帮助。

霍夫曼的研究小组联合日本国家神经学和精神病学中心的研究人员，每周或隔周给3只天生就患有犬类DMD的比格犬通过静脉注射一种含有3种不同抗转录分子的混合液。经过几周治疗，这些狗在肌肉功能的测试和症状上有了明显改善，其细胞产生的抗肌萎缩蛋白达到了正常值的26%，这与人类BMD患者身上的值相类似。

霍夫曼说，这是研究人员第一次成功地系统实施抗转录疗法来减轻大型动物身上的DMD。

[更多阅读](#)

[《神经学年鉴》发表论文摘要\(英文\)](#)

发E-mail给:



[打印](#) | [评论](#) | [论坛](#) | [博客](#)

读后感言:

发表评论

国外媒体盘点十大不明病因疾病

感染性疾病，免疫学及疫苗研究会议资助机会

美研究称：青少年缺乏维生素D易患高血压等疾病

每年数千美国人死于地表臭氧引起的疾病

卫生部发布《新生儿疾病筛查管理办法》

《自然》：贺林小组成功破解短指症致病机理

中国首个人兽共患病预防与控制重点实验室成立

第341次香山科学会议研讨“神经发育与疾病”

“863”项目一科技精英沦为贪官 曾发现非典病毒

盘点十大疗效奇特药物 抗忧郁药引发性高潮

PNAS：猫为何有九条命

美国15个品牌婴儿奶粉被检出含高氯酸盐

华中科大学生情侣坠楼真相：男生杀害女友后跳楼

天文学家拍到猎户座双星系统高精度照片

4位华人学者入选HHMI亿元资助

清华出走副教授被找到 脱水严重无大碍