欧盟遗传性视网膜疾病基因疗法获得重大技术突破

日期：2013年08月28日　　科技部

长期的医学研究已证明，处理外部光线的视网膜感光细胞的基因变异，是许多导致失明的视网膜疾病或机能失调的“罪魁祸首”。欧盟第七研发框架计划（FP7）资助300万欧元，总研发投入400万欧元，由意大利科技人员总协调，欧盟3个成员国意大利、英国和爱沙尼亚，以及联系国瑞士科技人员组成的欧洲AAVEYE研发团队，自2008年底着手研究开发治疗遗传性视网膜感光细胞衰退的基因疗法，获得重大技术突破。

研发团队进行了大量的腺相关病毒（AAV，Adeno-Associated Virus），作为视网膜感光神经元（Photoreceptor Neurons）基因转移载体的研究比对发现，基于腺相关病毒血清型8（AAV2/8）的病毒载体，对啮齿类动物或大型动物的光受体（Photoreceptors），进行基因转移最有效也最快捷。在此基础上开展的有关：光受体衰退的致病机理、遗传性视网膜疾病的发展诊断设计、和致盲光受体的直接基因疗法等研究，获得了大量得到验证的科学数据和经验知识积累，并在国际学术刊物上发表了数10篇科研论文和申请了数项专利。其中，最关键的技术突破在于发现了视网膜光受体基因疗法的有效载体平台（Vector Platform），有助于开展积极的致盲光受体基因治疗。

研发团队应用于志愿者的实验研究结果表明，可显著放缓光受体的退化变性和修复视网膜功能。研发团队的合作伙伴之一，利用新型的基因转移技术开展的治疗遗传性视网膜疾病，如粘多糖贮积症VI型（Mucopolysaccharidosis VI），业于取得明显疗效。

打印本页　　关闭窗口