

当前位置: 科技部门户 > 新闻中心 > 科技动态 > 国内外科技动态

【字体: 大 中 小】

## 意大利科学家研发帕金森症基因疗法

日期: 2018年01月09日 来源: 科技部

帕金森症是一种常见的中老年人神经系统变性疾病,会严重影响患者生活质量,并为患者和家庭带来沉重压力。从全球对老龄化社会的研究看,帕金森患病率逐年递增,为社会带来沉重负担。帕金森症的治疗,是当前国际生命健康领域重要研究课题之一。

目前的研究认为,患者大脑中的 $\alpha$ -突触核蛋白等毒性物质在多巴胺神经元脑细胞中堆积,导致神经元死亡或功能障碍,引发帕金森症。意大利国家研究委员会研究人员发现,大脑中的毒性物质通常会被GBA1基因产生的酶“处置”,而帕金森病患者体内该酶作用能力较弱。在5%的患者体内观察到GBA1基因突变,产生的酶基本没有发挥作用。

基于上述思路,研究人员提出了新的基因治疗方法,即为患者神经细胞提供“修正”基因,以产生正常的酶。研究人员还使用了一种新的治疗载体,能够有效穿越血脑屏障并扩散到整个大脑释放治疗性基因。日前,该项工作已完成小鼠实验,结果表明,新的治疗方法在小鼠大脑大部分区域阻止或减缓了毒性物质的积累,有效地保护了神经元。

打印本页

关闭窗口



版权所有: 中华人民共和国科学技术部  
地址: 北京市复兴路乙15号 | 邮编: 100862 | 地理位置图 | ICP备案序号: 京ICP备05022684