

[微博微信](#) | [English](#) | [公务邮箱](#) | [加入收藏](#)[站内搜索](#)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】](#)

## 加拿大首次利用基因疗法治疗法布里病

日期: 2017年03月17日 来源: 科技部

法布里病 (Fabry), 或称  $\alpha$ -半乳糖苷酶A (一种溶酶体水解酶) 缺乏症, 是一种罕见的X染色体上基因异常导致的遗传性疾病。因体内负责制造  $\alpha$ -半乳糖苷酶A的基因缺陷, 造成体内糖鞘脂代谢障碍, 不断堆积在细胞质及溶体中, 引发肾脏、心脏和大脑等多处器官病变, 严重时可能造成死亡。全球法布里病患者总数约5000人, 加拿大约420人。

加拿大卡尔加里大学卡明医学院的的研究人员在临床试验中, 从法布里病患者体内搜集到一定数量的血液干细胞, 利用一种特殊设计的病毒来增加干细胞的数量, 这些增加的干细胞复制了完全功能的基因, 而该基因在体内负责制造  $\alpha$ -半乳糖苷酶A, 这些改变了的干细胞被成功移植回到患者体内。该团队被认为是世界上第一个利用基因疗法治疗法布里病的团队。

基因疗法已经在加拿大用于治疗癌症, 但该项研究被认为是加拿大第一次利用基因疗法治疗遗传性代谢失调。这项治疗由加拿大卫生部批准, 是加拿大基因疗法中第一个使用慢病毒的临床试验。在这个病例中, 特别修改的病毒被剥离了致病能力, 但能够复制增加制造缺失酶的基因的数量。

研究人员已经证明该疗法在老鼠身上有效, 但成功的动物试验并不意味着在人体试验中成功。即使酶水平的改善能够给病人带来曙光, 疗效如何, 还要看几个月后的结果。

[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