

# 病毒载体与造血干细胞基因治疗

董文吉, 祖振响, 刘德培, 梁植权

中国医学科学院基础医学研究所 中国协和医科大学基础医学院 医学分子生物学国家重点实验室; 北京 100005

收稿日期 修回日期 网络版发布日期 接受日期

**摘要** 多种获得性和遗传性疾病累及造血细胞。造血干细胞是人类基因治疗的重要靶细胞。成功的造血干细胞基因治疗不仅需要高效基因转移, 还需要治疗基因的长期、高水平表达。反转录病毒载体是造血干细胞基因治疗的常用载体, 结合优化的造血干细胞转导条件, 其介导的腺苷脱氨酶缺陷引起的严重联合免疫缺陷和 X染色体连锁的严重联合免疫缺陷的基因治疗已经获得初步成功; 其他整合型病毒载体如慢病毒和腺相关病毒载体, 也在临床前造血干细胞基因治疗研究中得到广泛应用。从病毒载体、基因转移和基因表达等几个方面综述了造血干细胞基因治疗的临床前和临床研究的重要进展。

**关键词** [造血干细胞](#) [反转录病毒载体](#) [慢病毒载体](#) [腺相关病毒](#) [基因治疗](#)

分类号

## 扩展功能

### 本文信息

- ▶ [Supporting info](#)
- ▶ [PDF\(252KB\)](#)
- ▶ [\[HTML全文\]\(0KB\)](#)
- ▶ [参考文献](#)

### 服务与反馈

- ▶ [把本文推荐给朋友](#)
- ▶ [加入我的书架](#)
- ▶ [加入引用管理器](#)
- ▶ [复制索引](#)
- ▶ [Email Alert](#)
- ▶ [文章反馈](#)
- ▶ [浏览反馈信息](#)

### 相关信息

- ▶ [本刊中 包含“造血干细胞”的相关文章](#)
- ▶ [本文作者相关文章](#)

- [董文吉](#)
- [祖振响](#)
- [刘德培](#)
- [梁植权](#)

## Abstract

## Key words

DOI:

通讯作者