

作者: 张梦然 来源: 科技日报 发布时间: 2022/11/28 11:20:33

选择字号: [大](#) [中](#) [小](#)

## 新“基因魔剪”按需敲入长DNA序列

或可治疗多突变疾病

科技日报北京11月27日电 (记者张梦然)据最新一期《自然·生物技术》发表的一项研究,在CRISPR基因编辑系统的基础上,美国麻省理工学院研究人员设计了一种新工具,可以更安全、更高效的方式剪除有缺陷的基因并用新基因替换它们。

使用这个系统,研究人员可将长达36000个DNA碱基对的基因传递给几种类型的人类细胞,以及小鼠的肝细胞。这种被称为PASTE(通过位点特异性靶向元素进行可编程添加)的新技术有望治疗由具有大量突变的缺陷基因引起的疾病,例如囊性纤维化。

新工具结合了CRISPR-Cas9的精确定位,CRISPR-Cas9是一组最初源自细菌防御系统的分子,与整合酶结合在一起,病毒使用这种酶将自己的遗传物质插入细菌基因组。这些整合酶来自细菌和感染它们的病毒之间的持续斗争,它说明了人们如何能够不断从这些自然系统中找到大量实用新工具。

此次开发的新工具,可切除有缺陷的基因并用新基因替换它,而不会引起任何双链DNA断裂。研究人员专注于丝氨酸整合酶,它可插入大块DNA,大至50000个碱基对。这些酶以称为附着位点的特定基因组序列为目标,这些序列起到“着陆点”的作用。当在宿主基因组中找到正确的着陆点时,它们就会与之结合。

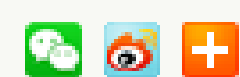
研究团队意识到,将这些酶与插入正确着陆位点的CRISPR-Cas9系统相结合,可轻松地对强大的插入系统进行重新编程。一旦结合了着陆点,整合酶就会出现并将其更长的DNA有效载荷插入到该位点的基因组中。研究人员表示,这朝着实现可编程插入DNA梦想迈出了一大步。

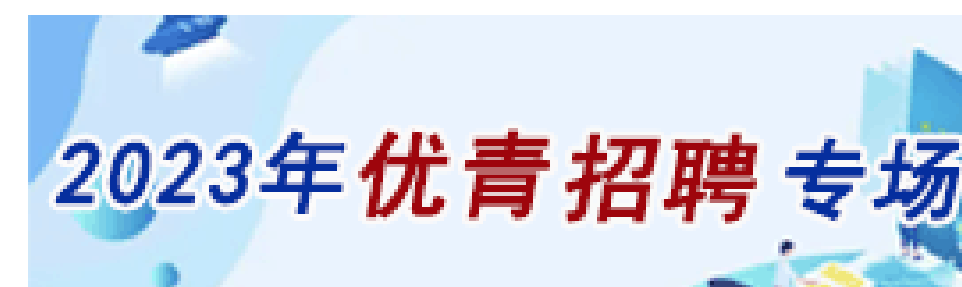
研究人员使用PASTE将基因插入多种类型的人类细胞,包括肝细胞、T细胞和淋巴母细胞(未成熟的白细胞)。他们使用13种不同的有效载荷基因(包括一些可能具有治疗作用的基因)测试了递送系统。

在这些细胞中,研究人员能够以5%到60%的成功率插入基因。研究还证明,可将基因插入小鼠的“人源化”肝脏中。这些小鼠的肝脏由大约70%的人类肝细胞组成,PASTE成功地将新基因整合到大约2.5%的这些细胞中。

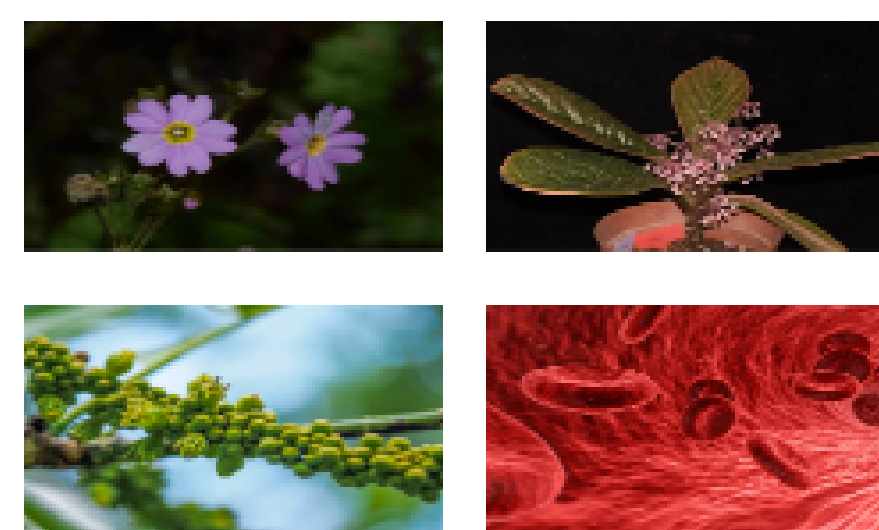
团队表示,该技术还可用于治疗由缺陷基因引起的血液疾病,例如血友病和亨廷顿氏病。

特别声明:本文转载仅仅是出于传播信息的需要,并不意味着代表本网站观点或证实其内容的真实性;如其他媒体、网站或个人从本网站转载使用,须保留本网站注明的“来源”,并自负版权等法律责任;作者如果不希望被转载或者联系转载稿费事宜,请与我们联系。


[打印](#)
[发E-mail给:](#)


[相关新闻](#)
[相关论文](#)

- 1 科学家利用基因编辑技术调控水稻遗传重组频率
- 2 基因编辑T细胞治疗开始人体试验
- 3 “基因魔剪”编辑基因更安全、更有效
- 4 首例六基因编辑猪-猴多器官多组织同期联合移植
- 5 西北农林科大等成功获得多基因编辑克隆猪
- 6 改进型CRISPR一次设计超十亿个细胞
- 7 基因编辑奶山羊让羊奶营养价值更丰富
- 8 农业农村部基因编辑创新利用重点实验室成立

[图片新闻](#)

[>>更多](#)
[一月新闻排行](#)

- 1 两所公安院校更名亮相,均为部属
- 2 学院官方通报:一女学生高空自主坠亡
- 3 海南省海洋立体观测与信息重点实验室揭牌成立
- 4 基金委发布一项重大研究计划项目指南
- 5 杨振宁:真性情名誉主席,与西湖大学再相逢
- 6 解决写论文4大难题!《科学》找7位学者支招
- 7 牛顿、爱因斯坦如何导演了精密制造这出大戏
- 8 自然科学基金委医学领域一项目评审组名单公布
- 9 宅、头发少、生活单调?这群理论物理博士不一般
- 10 2023年中国科学院院士增选工作启动

[编辑部推荐博文](#)

- [科学网4月十佳博文榜单公布!](#)
- [JML文章集锦 | 仿生材料及其应用研究\(一\)](#)
- [当代代相传的知识遇上会思考的机器](#)
- [从读博到硕导,回顾我的五年9篇SCI论文发表经历](#)
- [AI助力甄别论文工厂](#)
- [期刊投稿信怎么写?攻略+模板来了!](#)

[更多>>](#)