

作者：王小龙 来源：科技日报 发布时间：2009-2-28 10:5:0

小字号

中字号

大字号

JCI：肌肉萎缩症基因疗法动物实验成功

有望彻底改变现有治疗方式

美国密苏里大学的研究人员近日宣称，他们确定了遗传物质中对治疗肌肉萎缩症至关重要的一种分子化合物——“神经型一氧化氮合酶”（nNOS）的位置，以此制成了一系列新的抗肌萎缩蛋白基因，并在动物实验中获得了成功。该发现有望使目前对肌肉萎缩症的治疗方法得到彻底改变。相关研究刊登在2月23日出版的《临床研究杂志》（*Journal of Clinical Investigation*）上。

杜氏肌营养不良症又称假性肥大型肌营养不良症，患者大多为男性，是一种常见的肌肉萎缩症。患者通常会出现基因变异，扰乱抗肌萎缩蛋白的合成，从而影响治疗。而缺少抗肌萎缩蛋白则会发生一系列连锁反应，并最终会导致肌肉细胞的萎缩甚至死亡。

负责此项研究的美国密苏里大学分子微生物学和免疫学副教授段东升（音译）发现了一种可以用健康基因替换变异基因的方法。他的研究团队在动物实验中，通过更换这些基因，使抗肌萎缩蛋白的合成能力实现了重启。

据介绍，虽然抗肌萎缩蛋白对肌肉的生长至关重要，但它还需要几个“帮手”来维持肌肉组织。其一是被称为“神经型一氧化氮合酶”（nNOS）的分子化合物，它能产生氧化一氮。这种物质在肌肉剧烈运动时起到十分重要的作用。段东升说：“当人们运动时，不仅肌肉收缩，血管也会相应变窄。而氧化一氮可以使血管松弛，从而为肌肉提供充足的血液供应。如果肌肉细胞供血不足，便会最终导致死亡”。

据了解，自1994年以来，研究人员就注意到了nNOS的重要性，但却一直无法在营养不良的肌肉或缺乏抗肌萎缩蛋白的肌肉中合成这种物质。不少尝试都以失败告终。

经过研究，段东升和他的团队创造了一系列新的抗肌萎缩蛋白基因。在使用新型抗肌萎缩基因对患有肌肉萎缩症的实验鼠进行遗传学修正后，研究人员发现，之前消失的nNOS在营养不良的肌肉中又得以重现。在接受新型基因治疗后，实验鼠并未出现肌肉受损或疲劳现象。

因为这个新发现，段东升他们破解了一个长期困扰肌肉萎缩症治疗的谜团，这将改变肌肉萎缩症治疗的未来。这项研究表明，使用基因疗法可以完全重建营养不良肌肉的所有功能，从而使之恢复正常。

更多阅读

[《临床研究杂志》发表论文全文（英文）](#)

[美国《每日科学》相关报道（英文）](#)

发E-mail给：

GO

打印 | 评论 | 论坛 | 博客

读后感言：

发表评论

相关新闻

新基因疗法或可让人“长生不老”

英科学家发明心脏病基因疗法

法发明可与皮肤移植相结合的基因疗法 预防皮肤病...

PNAS: 新型非基因疗法可治疗先天性耳聋

“基因疗法之父”性侵害华裔女童获刑

一周新闻排行

2009年博士后最佳雇主排名颁布

科技部公布新认定7个国家大学科技园名单

《科学》杂志一篇新闻报道值得商榷

留学基金委公示优秀自费留学生奖学金获奖名单

吴谨：第三只眼看SCI

李连达论文造假背后：当选院士后越来越忙

2月20日《科学》杂志精选

08诺奖失意者罗伯特·加罗获得百万美元大奖