

## + 新闻公告

[通知公告](#)
[新闻快讯](#)
[下载中心](#)
[更多>>](#)

- ▶ 浙江省医学遗传学重点实验室突发事件应急预案 [12-20]
- ▶ 浙江省医学遗传学重点实验室管理制度 [12-20]
- ▶ 浙江省医学遗传学重点实验室财务管理规定 [12-20]
- ▶ 学院会议室使用管理规定 [12-20]
- ▶ 基因诊断室准入须知 [12-20]

## ■ 新闻公告

您现在的位置在: [首页](#) > [新闻公告](#)**Stem Cell: 基因技术治愈小鼠白内障遗传疾病**浏览次数: 34 来源: 中国科学报 作者: 黄辛 发布时间: 2013-12-10 [返回](#)

中科院上海生物化学与细胞生物学研究所李劲松研究组在一项最新研究中, 利用CRISPR-Cas9技术, 治愈了小鼠的白内障遗传疾病。专家认为, 这项实验为人类基因治疗提供了一条新思路。12月5日, 相关成果在线发表于《细胞—干细胞》杂志。同时, 该成果被国际杂志《科学家》选择进行同期新闻发布。

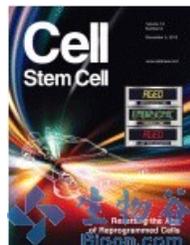
CRISPR-Cas9技术是利用一段与靶序列相同的单导向RNA (sgRNA) 来引导Cas9核酸酶对特异靶向DNA进行识别和切割, 造成DNA的双链或单链断裂, 然后, 细胞会利用自身具备的两种修复机制对断裂的DNA进行修复, 即非同源性末端接合 (NHEJ) 或同源介导修复 (HDR)。

为验证这项技术能否用于高效治疗遗传病, 研究者选择小鼠白内障遗传疾病模型进行研究。这批模型小鼠携带显性突变的Crygc基因, 眼睛会产生变性的晶状体蛋白而发生混浊。研究人员设计出针对突变基因的单导向RNA, 将它与核酸酶直接注入受精卵, 发现1/3新生小鼠的白内障症状得到治愈。白内障小鼠治愈后, 也能通过生殖细胞将修复的基因传递给下一代, 证明白内障遗传疾病可被根治。

研究人员根据sgRNA同源程度, 预测存在10个潜在脱靶位点, 并对这些位点进行测序发现, 12只治愈的小鼠中只有两只在一个位点上存在脱靶现象。

李劲松表示: “今后的研究还需要进一步提高治愈的效率, 避免出现脱靶。” ([生物谷Bion.com](#))

生物谷推荐的英文摘要



Stem Cell

doi:10.1016/j.stem.2013.10.016

**Correction of a Genetic Disease in Mouse via Use of CRISPR-Cas9**

Yuxuan Wu, Dan Liang, Yinghua Wang, Meizhu Bai, Wei Tang, Shiming Bao, Zhiqiang Yan, Dangsheng Li, Jinsong Li

The CRISPR-Cas9 system has been employed to generate mutant alleles in a range of different organisms. However, so far there have not been reports of use of this system for efficient correction of a genetic disease. Here we show that mice with a dominant mutation in Crygc gene that causes cataracts could be rescued by coinjection into zygotes of Cas9 mRNA and a single-guide RNA (sgRNA) targeting the mutant allele. Correction occurred via homology-directed repair (HDR) based on an exogenously supplied oligonucleotide or the endogenous WT allele, with only rare evidence of off-target modifications. The resulting mice were fertile and able to transmit the corrected allele to their progeny. Thus, our study provides proof of principle for use of the CRISPR-Cas9 system to correct genetic disease.

友情链接:



[网站导航](#) | [网站地图](#) | [隐私保护](#) | [联系我们](#) | [帮助信息](#)

中国检验医学教育网\_版权所有 地址: 中国温州茶山高教园区温州医学院 邮编: 325035

Copyright @ China Laboratory Medicine and Education, All Rights Reserved

电话: 0577-86699209 0577-86689776 浙ICP备09020369号 温州瑞星科技