



面向世界科技前沿, 面向国家重大需求, 面向国民经济主战场, 率先实现科学技术跨越发展, 率先建成国家创新人才高地, 率先建成国家高水平科技智库, 率先建设国际一流科研机构。 —— 中国科学院办院方针



搜索

基因组编辑工具CRISPR可用于设计干细胞

文章来源: 科技日报 常丽君 发布时间: 2015-01-07 【字号: 小 中 大】

我要分享

自2012年以来, 研究人员常用一种叫做CRISPR的强大“基因组编辑”技术对生物体的DNA序列进行修剪、切断、替换或添加。最近, 美国约翰·霍普金斯大学医学院的科学家证明, 这一系统还能精确有效地改变人类的干细胞。研究人员指出, 这一发现简化了对诱导多能干细胞(iPSCs)的修改和定制, 有望更快在治疗上取得成果, 开发出用于疾病研究和药物测试的模型系统。相关论文在线发表于最近的《分子治疗》上。

CRISPR来自微生物的免疫系统, 这种工程编辑系统利用一种酶, 能把一段作为引导工具的小RNA切入DNA, 就能在此处切断或做其他改变。以往研究表明, 通过这些介入, CRISPR能使基因组更有效地产生变化或突变, 效率比TALEN(转录激活因子类感受器核酸酶)等其他基因编辑技术更高。但最近研究发现, 虽然CRISPR有许多优点, 在人类癌细胞系列中, 它也可能产生大量“误伤目标”, 尤其是对不希望改变的基因做修改。

据物理学家组织网1月6日(北京时间)报道, 为了研究这种副作用在人类其他细胞中是否也存在, 研究小组用CRISPR和TALEN两种系统在人类的iPSCs中进行实验, 让它们在iPSCs中切下已知的基因片段, 或切掉后再换上其他的。

他们用JAK2、SERPINA1和AAVS1基因作为模型, JAK2基因变异会导致骨髓紊乱, 真性红细胞增多症; SERPINA1基因变异会导致alpha1-抗胰蛋白酶缺乏, 这是一种遗传性紊乱, 会造成肺和肝脏疾病; 而AAVS1最近发现是人类基因组中的“安全港”, 可以插入外来基因。

通过比较发现, 在这三个基因系统中, 如果只是简单地切掉部分基因, CRISPR系统明显比TALEN更有效, 产生的剪切是后者的100倍; 而在做基因替代操作时, 如替代JAK2和SERPINA1中的致病变异, CRISPR和TALEN的效率相当。

研究人员还指出, 与人类癌细胞系研究不同的是, 无论CRISPR还是TALEN, 在人类iPSCs中同样都有着目标特异性, 即只瞄准那些为它们设定的目标基因。他们还发现, CRISPR系统比TALEN更有优势: CRISPR可以设计成只瞄准病人体内含有变异的基因, 而不影响健康基因, 即只影响某个基因的一个副本。这些成果与以往的干细胞研究成果结合, 使CRISPR成为一种有用的人类iPSCs基因剪辑工具, 其偏离目标的风险更小。

约翰·霍普金斯大学医学院导师叶朝辉(音译)说, 他们的研究详细说明了如何将CRISPR技术用于人类iPSCs, 展现了该技术在这类细胞中的潜力。“干细胞技术正在迅速发展。我们认为, 将iPSCs用于人类治疗的日子已经不远。”

热点新闻

我国探月工程嫦娥四号探测器成...

中科院党组学习贯彻《中国共产党纪律处... 中科院与北京市推进怀柔综合性国家科学... 发展中国家科学院第28届院士大会开幕 14位大陆学者当选2019年发展中国家科学... 青藏高原发现人类适应高海拔极端环境最...

视频推荐



【新闻联播】“率先行动”计划 领跑科技体制改革



【新闻直播间】“嫦娥四号”成功发射 开启月背之旅

专题推荐

