

谨慎使用基因编辑技术CRISPR

最近关于基因编辑方法（CRISPR）的一系列研究引起了人们对这个技术是否适用于治疗遗传疾病（比如亨廷顿舞蹈症）的担忧。



Dr Rachel Harding撰写

2020年8月18日

Dr Leora Fox编辑

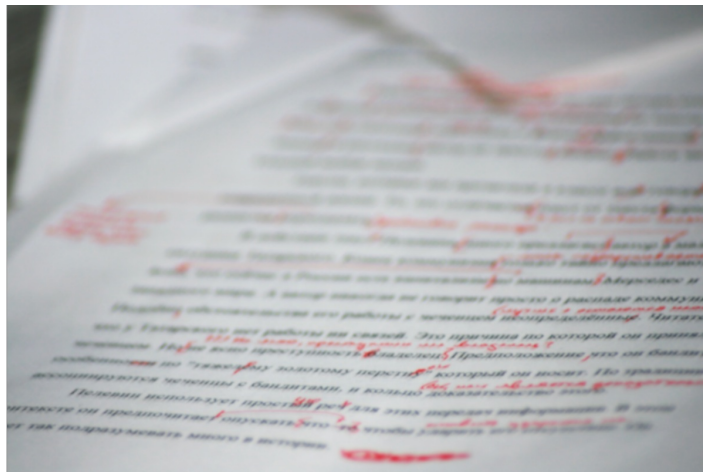
Xi Cao译制

最早发布于2020年8月12日

CRISPR是一种基因编辑的工具，它在实验室中作为一种先驱的突破性技术的同时，更是一种潜在能治疗许多基因疾病（包括亨廷顿舞蹈症在内）的方式。但是一系列最近的研究表明CRISPR技术也许不像想象的那么精准，有可能会导导致基因组发生意料之外的改变。三个不同的研究发现在试图编辑一个单个基因的时候，DNA的其他部分也发生了变化。

这些研究目前在网上发表了暂时的结论，现正处于正式发表前接受科学界同行审查的阶段。这意味着，文献中也许还存在着一些其他没被发现的错误。然而，在这些不同的研究都发现CRISPR会导致脱靶效应的同时，主流以及科学界的媒体也一直在关注这个问题。即使CRISPR作为研究工具仍然充满希望，但似乎离准备被用作药物还是有一段距离。

CRISPR可以对我们的DNA造成永久性的改变



CRISPR 技术让科学家们能够编辑基因，很多研究者都非常期待能用这个工具来治疗像HD这样的基因遗传病

照片提供：[Quinn Dombrowski](#)

CRISPR系统是一种细菌用于抵御病毒或其他入侵物时的免疫系统，这些细菌在抵御病毒或其他入侵物时会切割外来物的基因材料。CRISPR的机制有两个组成部分：一种叫引导RNA的特殊遗传信息，它发现并指向入侵者的DNA；以及一种酶，可以切割并摧毁DNA。

科学家们可以通过改变引导RNA的目标顺序来操控CRISPR系统精确编辑基因组的中某一片段。这些基因组内的编辑是永久性的，它们也会遗传给下一代。自从CRISPR在2000年问世起，科学家们就一致在梦想关于CRISPR的各种主意以及用途。例如，是否能在胚胎中将HD扩增基因切除？考虑到人类或其他物种的陷入的基因操纵道德困境，这些想法并非没有争议。CRISPR在2018年成为头条新闻，当时中国南方科技大学的科学家贺建奎在他的CRISPR实验导致了一对基因被编辑的双胞胎女孩的诞生。

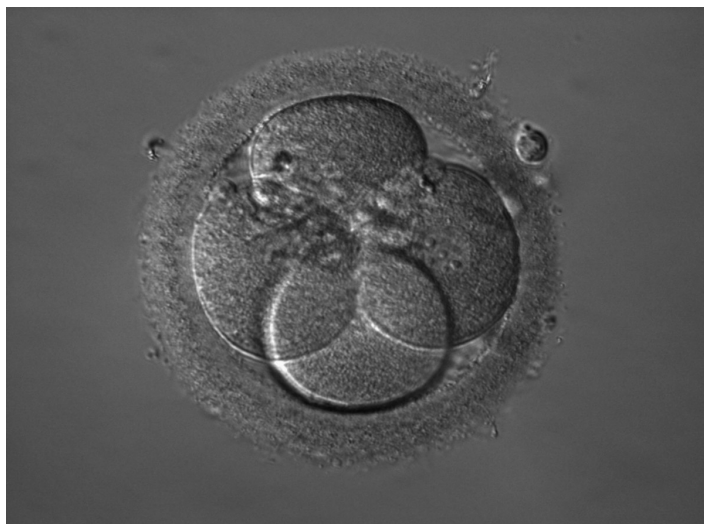
一个不够完美的系统

“CRISPR基因编辑可能导致基因组其它部分的意外改变”

那三个最近的研究是由伦敦的弗朗西斯克里克研究所，纽约的哥伦比亚大学和波特兰的俄勒冈健康与科学大学组织的。每个团队都用CRISPR对捐赠给研究的人类胚胎做了不同的编辑。这三个实验的目标基因涉及胎儿发育，失明和心脏问题。所有的研究都发现，CRISPR基因编辑可能会导致基因组外其他部分发生非常大的意外改变，包括靠近目标基因的区域内的删除和重新排列。这样的状况很糟糕，因为我们的DNA密码是一套非常精确的指令，就像食谱一样。如果你重新排列这些步骤，就好比在参照食谱时做饭减去一些配料，结果也许就不那么好了。

这些脱靶效应是由DNA修复时的问题造成的，虽然各个研究之间尚未就这个情况具体如何发生达成共识。所有科学家都同意的一件事是，当考虑使用CRISPR进行基因组编辑时，每个人都停下来想一想，因为这个技术并不像大家之前想象的那样精准微调。

这个对于HD意味着什么？



CRISPR 的百年祭是永久性的，并且能够遗传给下一代

照片提供：[ZEISS Microscopy](#)

由于CRISPR治疗方式的永久性，这一点对于像HD那样的基因疾病是吸引人的同时也是令人担忧的。理论上，CRISPR可以被用来不可逆地切除胚胎内的一些CAG重复。这样一来，一个从这样的胚胎中发育而来的人和他/她的后代就不会患有HD。CRISPR技术的编辑具有永久性，这意味着意外的后果不仅会影响到个人，而且还会代代相传。科学家们不倾向于将像这样的基因治疗技术在被证明足够安全成熟之前就投入应用。

好消息是，这些最新发现使科学家意识到CRISPR技术的局限性。这不会阻止科学家发扬光大CRISPR的梦想，但是他们将更加谨慎地前进。科学家现在将考虑如何最好地改进技术来避免此类问题，并希望将来将CRISPR作为针对各种遗传疾病的安全疗法。

风信子翻译组：章舒颖

作者没有利益冲突需要声明 想了解更多关于本站公开制度的信息，请看常见问题解答。

HDBuzz2011-2025. HDBuzz内容在创作共享许可证下免费共享。

HDBuzz不提供医疗建议。 了解更多请访问hdbuzz.net

于2025年5月17日打印 — 从<https://zh.hdbuzz.net/289>下载