

用作疾病遗传学相关研究,寻找疾病发病机理……

# 这是基因编辑技术正确打开方式

本报记者 陈晓丽 王小蒙

## 基因检测技术可应用于疾病筛查

山东大学附属生殖医院生殖遗传科主任颜军昊介绍,基因编辑双胞胎是在第三代试管婴儿技术基础上的技术改造。第三代试管婴儿技术即胚胎植入前遗传学检测,也是基因技术检测在临床的一项广泛应用。试管婴儿一次产生的多个胚胎,在胚胎发育到囊胚期时取四到五个细胞,提取DNA进行分子遗传学的相关检测,选出未见异常的胚胎。

“通过该技术,目前已知的染色体疾病和明确致病基因的单基因病,如先天性耳聋、血友病和地中海贫血等,都能大大降低发生率。”颜军昊说,目前已知人类超过八千种遗传病,已经明确致病基因的,都可以在基因层面提前检测。

“无创DNA产前检测也是利用基因技术,用于检测胎儿基因缺陷。”山东省千佛山医院医学研究中心主任、泰山学者常晓天介绍道,无创DNA产前检测,在医学上又被称为产前DNA高通量二代测序。孕妇的外周血里存在来自胎儿的游离DNA片段,并且随着孕周增大而增多,抽取5-10毫升孕妇外周血就可以检测其中的胎儿DNA。

据介绍,目前无创DNA产前检测基本用于检测三种染色体疾病:唐氏综合征(21-三体综合征)、爱德华氏综合征(18-三体综合征)、帕陶氏综合征(13-三体综合征)。

## 个性化用药是基因技术应用重要方向

“个性化用药是基因技术应用的一个重要方向”,常晓天介绍,现在在个性化用药方面应用比较多的是肿瘤靶向药物。通过基因检测这些药物靶标,可以制定特异性选择药物方案,使得药物精准作用于癌变细胞和分子。

近年来,随着基因工程技术的发展,医学在不断寻求新的治疗突破点时,基因药物引起了医疗界大量关注。基因药物通过干扰或修复疾病基因的表达

近日,基因编辑婴儿事件引发舆论轩然大波。自2000年人类基因组工作草图完成以来,基因工程技术得到了突飞猛进的发展,在医学检验、药物、生物技术等方面得到了广泛应用。不过专家表示,目前人类对基因的认识还十分有限,但是发展前景广阔。具体到基因编辑技术,其应用的一个重要方向是疾病遗传学相关研究。但是,目前并没有临床应用,尚处于科学研究和动物试验阶段。

达到治疗目的,不过,目前这类药物尚处于初步探索阶段。

“CAR-T就是其中一种,属于细胞疗法。”常晓天解释道,具体来说,就是从肿瘤患者身上分离出免疫系统的T细胞,然后通过基因技术修饰T细胞,提高其识别和杀灭肿瘤细胞的能力,经过体外培养,再回输到患者体内。不过,目前CAR-T细胞治疗技术在国际上还处于临床试验阶段。

与此同时,还有些小分子RNA干扰药物也在研发过程中,据常晓天介绍,小分子RNA干扰药物发挥的是基因沉默剂的作用,期望通过药物来沉默那些可能导致疾病的基因表达。

## 基因编辑技术多处于试验阶段

据了解,基因编辑是分子生物学的一种研究技术,自最初发现CRISPR-Cas9以来,其应用的领域迅速扩大。用作疾病遗传学相关研究是其中一个重要方向,目的是为了找到

疾病的发病机理。但是目前并没有临床应用,只是在科学研究和动物试验阶段。

“目前还处于早期阶段,会在动物模型(即实验室动物)上使用CRISPR-Cas9技术。”颜军昊解释道,通常在动物上进行基因敲入或者是基因敲除,以便创造一个新的疾病模型,来确定一些遗传疾病的致病基因,并进行相应的治疗药物的研究。

因为小鼠拥有人类90%以上的基因,因此通常被用作研究CRISPR-Cas9治疗潜力的试验对象。例如小鼠实验表明,CRISPR-Cas9可以消除与假肥大性肌营养不良(DMD)相关的缺陷基因,抑制神经性舞蹈病蛋白质的形成,消除HIV感染等。

与动物研究相比,受限于伦理和监管问题,编辑人类DNA的CRISPR-Cas9实验相对来说比较少。

## 人类对基因功能认知仍非常有限

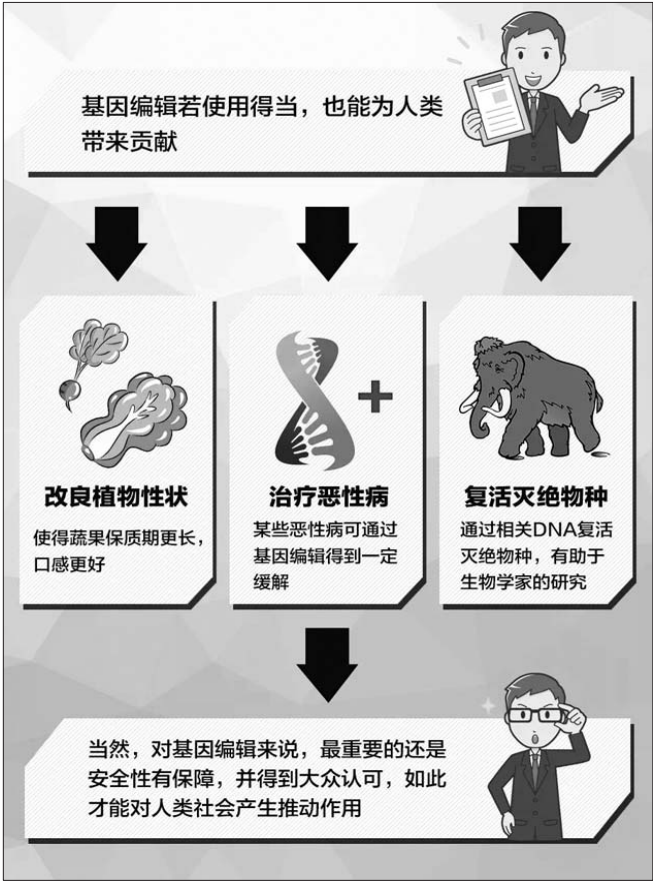
尽管如今基因技术已经在医疗领域进入临床应用,但是要想通过基因技术预测和预防疾病,或者期望通过基因技术攻克疑难杂症,从现在来看,仍然有些为时尚早。

常晓天解释道,目前针对所有疾病和药物的基因研究,基本上都是从单基因层面进行,“但是单基因导致的疾病非常少见,绝大部分都是多基因相关疾病,如今还少有多基因联合用药,但这也是未来的发展方向。”

这主要局限于人类对基因的认知。常晓天表示,人类有37000-40000个基因,对于每个基因各自的功能,以及他们之间复杂的相互关系,目前的认知还非常有限,“在这个层面来说,人类仍处于盲人摸象的阶段”。

除了基因认知层面的限制,疾病的发生发展受基因以外多种因素的影响,例如生活习惯、环境等,因此,即便存在疾病易感基因,也并不意味着一定会患病。

不过值得期待的是,如今基因测序正在飞速发展。常晓天说道,这就要求尽快完善、跟进相关政策和法律,以加强监管。



## 贺建奎今天或将现身人类基因组编辑峰会

全球首例基因编辑婴儿事件曝光,引发社会各界巨大质疑。负责这项临床试验的南方科技大学副教授、瀚海基因董事长贺建奎被迅速推到了舆论的风口浪尖。

26日,全球首例基因编辑婴儿事件曝光首日,媒体都在寻找贺建奎的踪迹。按照计划,贺建奎于27日上午在香港参加第二届人类基因组编辑国际峰会。然而,记者在现场发现,贺建奎并未现身会场。

26日夜间,据说是贺建奎团队媒体对接人的陈远林,在回复南都记者时表示,27日贺建奎会正常参加论坛。根据港科院提供的会议议程,27日该论坛将针对人类基因、基因组及遗传变异的概括介绍;编辑基因所引起的社会及伦理问题;人类基因组编辑科学;现今政府对人类基因组编辑的行动及建议展开讨论。截至

27日早晨9点仍未见贺建奎。

不过,第二届人类基因组编辑国际峰会筹委会主席David Baltimore27日表示,现在大会安排了贺教授在28日发表演讲,“但是我们也不知道要干什么,在他没有讲话之前我们不能发表任何意见。”

此前有媒体报道,贺建奎基因编辑的事件通过媒体发表,而实际上没有经过同行的期刊发表,中国医学科学院人文学院院长、生命伦理学研究中心执行主任翟晓梅认为这是一种严重的学术不端。

作为此次第二届人类基因组编辑国际峰会学术委员会委员,翟晓梅表示,“他绕过了同行,直接对媒体,这是一种不太好的做法,因为媒体不太懂你的专业,会带来很多不确定的信息,对科学、学术界会造成许多不良的影响。”翟晓梅表示。 据南方都市报

齐鲁晚报广告中心服务电话

客户部:85196552 85196150 85196192  
地方事业部:85196188  
融媒体策划制作中心:85196177 85196155  
汽车事业中心:85196006  
房产事业中心:85196379  
都市消费中心:85196380  
产经运营中心:8516807 85193242  
财金事业部:85196145  
健康融媒新闻事业部:85196381  
教育融媒新闻事业部:85196190  
旅游融媒新闻事业部:85196613  
新媒体市场运营中心:85196566  
招聘、分类信息部:85196199  
市场监管部:85193357

齐鲁晚报

0分类广告电话:0531- 85196204  
地址:济南市添添大街2号大众传媒大厦东门

为国营电厂培训工人  
有高铁航空, 风电仪表, 银行专业。聘招生老师年薪十万。  
19953309288

济宁绿天使环保产业园  
标准厂房1000-14000平, 免费入驻, 租金减免、税收扶持  
15689953197

中国追溯山东运营中心  
发展全省各地市运营中心代理商/合作商  
电话: 0531-87955503  
政府第三方为诚信社会产品质量保驾护航

德州火车站南邻  
七千平米房产带院  
适合宾馆餐饮办公  
招租电话18905343888

大连海参 来电申购

通 知

海参同人参、燕窝、鱼翅齐名, 是世界八大珍品之一。海参不仅是珍贵的食品, 也是名贵的药材。为让广大顾客亲身感受野生海参对广大顾客朋友身体健康带来的效果, 海参公司特举行健康进万家活动, 只要您拨打电话400-052-7778均可低价申购野生海参一斤。

我们向社会公开承诺:

1、保真:每根海参均符合国家检验标准。绝非糖干海参破坏营养成分。  
2、保证野生刺参, 非养殖, 肉厚刺多, 口感软糯。  
3、每根海参均采用淡干技术, 保证营养不流失, 一斤海参大约(80-100)头。

保养品吃一大堆, 不如海参吃一根

老人吃海参, 保护心脑血管, 增强身体免

疫功能。  
学生吃海参, 促进发育, 提高智力, 增强免疫力, 少生病。  
男人吃海参, 缓解疲劳, 滋阴补肾, 养肝强身健体, 提高生活质量。  
女人吃海参, 调节内分泌, 护肝保血管, 滋阴补血, 美容养颜。

本次活动属于惠民活动, 绝对真实, 绝对可靠!

打进电话400-052-7778即可低价申购野生淡干刺参, 原价3960元/斤, 现低价申购999元/斤, 活动期间买一斤送一斤(赠品与主品相同), 每人最多申请两斤, 全国限量2000斤。还望广大朋友抓紧时间报名, 超低价特供, 购完为止。如与承诺不符愿承担法律责任, 市内免费送货, 外地免费邮寄。