

apophasis / January 29, 2012 12:04AM

[\[基因療法\] 美國基因療法新突破 破解遺傳疾病宿命](#)

美國基因療法新突破 破解遺傳疾病宿命

<http://www.epochtimes.com/b5/12/1/23/n3493970.htm>

[hr]

成功的基因療法，有潛力校正導致很多疾病產生的根本原因，因此一直被視為生物醫學研究的「聖盃」。近期美國生命技術公司研發的一種解碼單個脫氧核糖核酸(DNA)的機器，或將意味著基因醫學時代到來。

基因治病為時不遠

2012年1月20日，《工人日報》報導，本月上旬，美聯社披露消息：美國生命技術公司研發了一種以1000美元價格在一天內解碼單個脫氧核糖核酸(DNA)的機器。這正是人們長期追求的把基因組用於醫療的價格目標。該公司目前已經開始接受訂單，產品預計在1年後交付。

2011年開發出的基因大規模變異速檢技術，為檢測遺傳疾病、系統性地鑑定病原體的耐藥突變，以及開發新療法和新疫苗提供了一條捷徑。

2011年12月，《美國實驗生物學會聯合會期刊》發佈的一篇新研究論文稱，德國科學家已實現精確引導新的遺傳物質插入到細胞DNA指定位點上，從而有望改善實驗性基因治療的有效性和效率，同時也降低潛在的副作用。

這種基因治療實驗方法代表著一次重大的突破，因為它向人類展示了如何將遺傳物質精確地插入到所需的位點，而不是盲目地將其塞進細胞，期待最好的結果。

幾乎與此同時，用基因療法治療血友病和愛滋病取得初步成功、唇裂基因修復療法獲得新進展等令人欣喜的消息，也頻頻見諸報端。

運用基因「靶向治療」

人們長期以來所期待的醫學革命根植於兩大科技手段：基因檢測和基因療法。這意味著，在行將到來的「基因醫學時代」，醫療保健的基本方法將發生轉變——從關注疾病的檢測和治療，轉變為以預測和預防疾病為主，預防的意義將大大超出治療。

由此，醫生將有更強的能力診斷疾病、預測健康、判斷疾病的發展和制訂治療方案；運用基因學信息研發和施用的藥物將更具針對性(所謂「靶向治療」)，並能提前預知一種藥物的效果，以及是否會對具體某個人產生不良作用或毒性，從而實現「個性化用藥」。

回望數個世紀以來醫學的進步，總體而言，主要在3個方向上有了攻克疾病的能力：公眾健康和衛生知識的普及；含麻醉的消毒手術及器官移植技術的發展；抗生素、疫苗的發現和應用。

今天，人們對人類基因的認識取得了長足進步，並已開始從分子水平理解自身和思考疾病的起因時，可能便步入了攻克疾病之第4個方向的起始階段：推進基因療法。

破解遺傳疾病宿命

從不太嚴格的意義上講，最早的基因療法，也許是在上個世紀初用胰島素(並非基因，而是基因的產物)治療糖尿病。簡單地說，所謂的基因療法，是指利用基因工程技術來對人類基因進行操作，以矯正有缺陷的基因所帶來的不利結果。

基因療法主要有兩種：第一種是體細胞治療，即用正常的基因替換異常(有缺陷)的或潛在的致病基因。也就是說，將正常拷貝的基因導入受者體內，然後整合到受者的遺傳物質中，從而修正基因缺陷。所有的干預、修飾都發生在體細胞內，基因的改變不會傳遞給子代；第二種是種系治療(也叫生殖細胞療法)，即在精子、卵或胚胎細胞中進行遺傳改變，防止有害的突變傳給下一代。

1990年9月14日，被看做是基因療法的誕生日，美國國家衛生研究院的三位專家最先嚐試使用基因進行治療。

基因療法不能包治百病

雖然基因療法早已進入臨床試驗階段，但目前在治療大多數遺傳疾病上，並沒有取得太大的進展。現有的治療能力遠遠落後於診斷水平。此外，基因療法還有許多未知因素乃至危險因素，也引起了爭議。

此外，雖然基因治療在一定程度上是從根兒上解決問題，但並不意味著能包治百病。因為有的疾病不完全是由基因決定的，還跟心理、環境和生活方式等因素有關。
