

· 科技事件 ·

人类基因编辑“底线”公布 基因治疗或有“法”可依

2017年2月15日,人类基因编辑研究委员会发布报告,划定了人类基因编辑技术“底线”。报告中指出,人类基因编辑技术的使用必须按“规矩行事”,不能“为所欲为”,相应的原则和标准必须严格遵守。

经历了长达14个月的起草、论证后,报告讨论了人类基因编辑的科学问题、伦理问题和监管问题,并提出了相关原则。这一报告的发布,为人类基因编辑技术的应用划定了“活动范围”,CRISPR技术也向前迈出重要一步,但这是否有助于叩开技术应用的大门,还有待进一步考证。

重磅报告发布 专家称需按“规矩行事”

人类基因编辑研究委员会是美国科学院、美国医学院、英国皇家学会、中国科学院在2015年12月联合召开人类基因编辑峰会后成立的,主要就人类基因编辑的科学技术、伦理与监管问题,开展全面研究。

此次在全球发布的报告将人类基因编辑分为基础研究、体细胞、生殖细胞/胚胎基因编辑3类,并提出了相关原则。

在基础研究方面,报告中称可在现有管理条例框架下即在实验室对体细胞、干细胞和人类胚胎细胞进行以基础科学研究为目的的基因编辑试验。

在体细胞编辑方面,报告中规定,应利用现有的监管体系来管理人类体细胞基因编辑研究和应用,限制其临床试验与治疗在疾病与残疾的诊疗与预防范围内,从其应用的风险和益处来评价其安全性与有效性,在应用前需要广泛征求大众意见。

在生殖基因编辑方面,报告规定,应用有令人信服的治疗或者预防严重疾病或严重残疾的目标,并在严格监管体系下使其应用局限于特殊规范内,允许临床研究试验;任何可遗传生殖基因组编辑应该在充分的持续反复评估和公众参与条件下进行。

生殖基因的编辑是科学家们尤为关

注的问题,所以报告中也强调,“任何可遗传的生殖基因组编辑应在充分的持续的评估和公众参与下进行”。人类基因编辑研究委员会还提出10条标准,首项要求为“缺乏其他可行治疗办法”。

中国科学院广州生物医药与健康研究院研究员**裴端卿**是人类基因编辑研究委员会中唯一一名来自中国的学者,他全程参与了该报告长达14个月的研究与讨论工作。对于这一报告的发布,他表示,报告为人类基因编辑技术的进一步发展及运用提出了系统性、原则性的框架,具有积极意义。

但1975年诺贝尔生理学或医学奖获得者、加州理工大学生物学教授**David Baltimore**则认为研究人员仍需谨慎对待这一“科研禁区”的人体应用。

基因治疗大门“微开” 技术与监管仍是重头戏

CRISPR技术蓬勃发展,使得基因治疗已非新鲜事。研究人员能够瞄准特定的DNA区域添加或去除特定基因,这种研究工具很适合治疗人类遗传疾病。

2016年10月28日,四川大学华西医院肿瘤学家**卢铀**领导的团队,将CRISPR基因编辑细胞注入了转移性非小细胞肺癌患者体内,完成了全球首例CRISPR人体测试。

研究者将从患者的血液中提取免疫细胞,并使用CRISPR技术添加新的基因序列进入免疫细胞,然后将基因编辑后的细胞重新注入患者的血液中,这可能会有助于患者的免疫系统对癌症进行靶向清除。根据患者病情,他们将接受分2~4次细胞注入。接受治疗的患者们需要接受6个月的观察,来最后确认细胞注入不会导致副作用,以及基因疗法的有效性。

卢铀表示,他们进行的首例CRISPR人体测试并不编辑人类生殖细胞,而是对放疗、化疗等常规治疗法案失效后的转移性非小细胞肺癌患者进行基因编辑,所以不会产生遗传性的影响。

美国哥伦比亚大学医学中心胸部肿瘤主任**Naiyer Rizvi**肯定了CRISPR技术用于癌症治疗的创新性想法,但同时也表达了他对中国研究团队所进行的治疗最终能否取得成功的担忧。他指出,细胞提取、基因修改、细胞扩增是一项巨大的挑战,而且很难规模化。除非治疗效果显著,否则这种疗法推进起来会比较困难。而且,抗体的使用可能诱导过度的自身免疫反应。卢铀就此回应称,现阶段下结论还为时过早。

公众对于编辑人体非遗传基因,进行基因治疗的态度相对较“平和”,大部分的担忧仍是集中在技术的安全性方面。但对于编辑人类胚胎基因来“设计婴儿”的技术应用,仍是目前最大的争议所在。

因此,本次报告中也对“是否应该将基因编辑技术应用于设计婴儿”的问题,给出正面回应:“应该允许科学家修改人类胚胎,以消除镰状细胞性贫血等毁灭性遗传疾病”,但报告中也强烈建议,“一旦基因编辑技术充分应用于人类,当同步设定适当的限制条件。”

报告共同主席、威斯康辛大学麦迪逊分校生物伦理学家**Alta Charo**表示,科学进步使设计婴儿成为可能。“我们非常清楚,医疗旅行在全球已经成为事实。”不过现阶段来看,报告中虽然对“设计婴儿”有政策松绑的“嫌疑”,但美国国家科学院的建议仍是试图尽量避免上述状况。

对于此次发布的重磅长文,MIT Technology Review、Mail Online等国际媒体均在第一时间发表评论称,报告的发布确实使得CRISPR技术向前迈进了重要的一步,但对于报告中关于“设计婴儿”的编辑人类胚胎细胞技术的应用需谨慎处理和运用。

基因编辑是个涉及到大量科学、伦理和法律的重大课题,因此人类基因编辑研究委员会也呼吁应加强国际合作、制定更加严格的监管监督框架、确保公众参与决定权。

文/祝叶华