

# 基因工程对现代医学技术的促进作用

Victor Huang

成都外国语学校 四川成都 610000

**【摘要】**基因工程提供了研究基因结构和功能的手段。它以分子遗传学为理论基础,将目的DNA片段转移到另一个载体上,从而得到目的DNA的克隆。这种新技术通常依靠PCR技术来完成对基因的扩增,并将其转入一种生物内,由此使其按人们意愿表达新的性状,因此,这种技术也被称为分子克隆技术。直至今日,基因工程已经对农业、畜牧业、医药业、制造业和社会科学造成了具有改革意义的影响,其中,对现代医疗造成了最为显著的改革。

**【关键词】**基因工程; 现代医学; 糖尿病; CRISPR-Cas9; 高通量测序; 疫苗

## 1 前言

在现代社会,因为基因工程的发展,人类的遗传密码被逐步破解,因此,研究人员研发了各种各样新式的治疗方法。以前被视为不可攻克疾病现在逐渐有了解决或抑制的方法,比如说癌症、艾滋病、糖尿病和其他与基因有关的疾病。虽然有些时候基因疗法会因为某些不确定性有一定的风险。可事实上,可以救命治人的方法,从某种角度来说,都有其合理性。

## 2 基因工程改革

在1866年孟德尔找到基因的规律后,人类开始了征服基因的道路。在刚开始的时候,科学家们因为可以转移羊胚胎细胞而感到自豪,在现在看来,这只是基因技术最基本的应用罢了。因为各类酶的发现,基因结构的改变变成了较容易发事情。基因工程技术的运用使科学研究手段更多样化,相关技术也被优化。

## 3 技术进步

### 3.1 人工合成物质

对于患有某些疾病的人群来说,他们体内无法合成一些化合物,所以需要人工为他们提供这种物质。比如说I型糖尿病患者,为胰岛素依赖性糖尿病,从外界补充胰岛素能改善病情。第一批医用胰岛素制剂取自动物胰腺提取物。然而,牛和猪的胰岛素氨基酸序列不同人类胰岛素,所以这可能有副作用。Humulin®是第一个使用重组DNA技术生产的胰岛素制剂,甘精胰岛素的改变导致分子等电点的转移,中性鱼精蛋白Hagedorn(NPH)以及胰岛素lente和ultralent是首次用于维持基础激素水平的制剂,其显著降低其在生理pH值下的溶解性。现市面上的人造胰岛素都或多或少有一些缺点,但不可

否认,它们是糖尿病患者的福音。这些制剂的研发都离不开基因工程技术。在生物工程飞速发展的现在,研究者很可能找到新的基因序列并得到更优解。在不远的以后,甚至可能会有人造胰腺去提供帮助患者,基因工程为我们研发药物等生物制剂提供了重要的技术支撑。

#### 3.1.1 CRISPR-Cas9

CRISPR-Cas9是细菌和古细菌在长期演化过程中形成的一种适应性免疫防御,用来对抗入侵的病毒及外源DNA。CRISPR-Cas9基因编辑技术,是对靶向基因进行特定DNA修饰的技术,这项技术也是用于基因编辑中前沿的方法。以CRISPR-Cas9为基础的基因编辑技术在一系列基因治疗的应用领域都展现出极大的应用前景,例如血液病、肿瘤和其他遗传疾病。基因编辑技术的最新进展,特别是CRISPR/Cas9的惊人成果,为处理致命的遗传和癌症疾病带来了巨大的希望。当dCas9(双突变体)与抑制因子kruppel相关的box KRAB融合时,基因表达被抑制,但其基因组宽特异性和异染色质特异性直到其结合HS2增强子才为人所知,这在表达许多珠蛋白基因中具有独特的作用。观察到高度特异性的H3K9三甲基化和增强子和启动子的染色质可及性受限,表明个体增强子可以被成功修饰以控制表观基因组改变。虽然已证明癌症可以被抑制甚至被治愈,但基因疗法事实上有强烈的副作用。尽管如此,这种新疗法仍然给人们生的希望,利用基因工程,或许在未来可以将癌症的发病率降低,治愈率升高。

#### 3.1.2 高通量测序(NGS)

高通量测序技术以能一次并行对几十万到几百万条DNA分子进行序列测定和一般读长较短等为标志。由于测序的读长较短,这项技术最初只能用于已测序的模式物种。上世纪末完成的人类基因组计划为我们提供

了人类基因序列，这位测序技术提供了重要的参考。通过 NGS 可快速得到目的基因排序，与已知序列相比对，即可知道我们潜在的发病基因位点等信息。NGS 已成为一个低成本、有效的选择来测试全域 CMT 基因，某些不寻常的临床特征可以首先筛选出一些靶基因。例如强直性瞳孔在 CMT 1B (MPZ)；中枢神经系统 (CNS) 卒中样事件 / 白质改变或手分裂，以 CMT1X (GJB1) 患者手的鱼际运动不正常；CMT2A (MFN2) 出现视神经萎缩，CMT2C (TRPV4) 出现声带 / 膈肌麻痹。因此，通过测序我们就知道我们的基因是否有变换，随即使用更为准确的疗法。在未来，这种技术或许会被更加广泛地应用，促进基因治疗。

### 3.1.3 制作疫苗

疫苗已经拯救了数以亿计人的生命，现在，疫苗开发领域也取得了重大进展，特别是新型靶向树突状细胞 (DC) 的工程病毒载体。RNA 作为病毒的常见形式，常常为人所恐惧，可是，也可以利用基因工程将 RNA 改造为可靠的病毒疫苗载体。今天，大量的临床前研究已经证明了 RNA 病毒在动物疾病模型中的治疗效果，并证实了已免疫的动物对肿瘤和感染因子的抵抗作用。许多不同的 RNA 病毒现在都已进行临床试验。依靠基因工程的发展，越来越多种类的载体病毒可以被实验，越来越多的病毒可以被利用，因此更多的疫苗将会被研发。

## 4 总结

在现代社会，基因疗法将会很快的部分取代传统的疗法，基因工程也将会制作出更多的药品和疫苗。现代医学将会以极快的速度发展，可能再过几十年，人类就

可以治愈绝大部分的疾病。因此，基础基因工程的发展是不可或缺的，其对现代医学的促进作用是不可忽视的。

### 【参考文献】

- [1] Selivanova OM, Grishin SY, Glyakina AV, Sadgyan AS, Ushakova NI, Galzitskaya OV. Analysis of Insulin Analogs and the Strategy of Their Further Development. *Biochemistry (Mosc)*. 2018;83(Suppl 1):S146-S162. doi:10.1134/S0006297918140122.
- [2] Johnson, I. S. (1983) Human insulin from recombinant DNA technology. *Science*, 219, 632-637.
- [3] 人体“基因剪刀”抗癌临床试验首次在美国通过审查. 人民网.
- [4] Khan FA, Pandupuspitasari NS, Chun-Jie H, et al. CRISPR/Cas9 therapeutics: a cure for cancer and other genetic diseases. *Oncotarget*. 2016 Aug;7(32):52541-52552. DOI: 10.18632/oncotarget.9646.
- [5] Thakore PI, D' Ippolito AM, Song L, Safi A, Shivakumar NK, Kabadi AM, Reddy TE, Crawford GE, Gersbach CA. Highly specific epigenome editing by CRISPR-Cas9 repressors for silencing of distal regulatory elements. *Nature methods*. 2015;12:1143 - 49.
- [6] 石琼, 孙颖主编; 游欣欣, 白洁副主编. 海洋生物基因组学概论 =Introduction to marine genomics[M]. 中山大学出版社, 2015.08.
- [7] Morena J, Gupta A, Hoyle JC. Charcot-Marie-Tooth: From Molecules to Therapy. *Int J Mol Sci*. 2019;20(14):3419. Published 2019 Jul 12. doi:10.3390/ijms20143419.
- [8] Cohn, L.; Delamarre, L. Dendritic cell-targeted vaccines. *Front. Immunol*. 2014,5, 255.
- [9] Lundstrom K. RNA Viruses as Tools in Gene Therapy and Vaccine Development. *Genes (Basel)*. 2019;10(3):189. Published 2019 Mar 1. doi:10.3390/genes10030189.