

Это достижение может помочь в разработке единой генной терапии для таких заболеваний, как муковисцидоз, вызванных сотнями или тысячами различных мутаций в одном гене. Новый метод использует комбинацию технологий прайм-редактирования и ферментов рекомбиназа, позволяя вставлять здоровые копии генов в их исходное место в геноме.

Система, названная eePASSIGE, может вносить изменения размером с целый ген в несколько раз эффективнее, чем другие подобные методы.

Многие ученые использовали прайм-редактирование для эффективного внесения изменений в ДНК длиной до десятков пар оснований, чего достаточно для коррекции большинства известных патогенных мутаций.

Однако внедрение целых здоровых генов в их исходное место в геноме является давней целью области редактирования генов. Это не только потенциально позволит лечить многих пациентов независимо от того, какая мутация у них есть в гене, вызывающем заболевание, но также сохранит окружающие последовательности ДНК, что увеличит вероятность того, что вновь внедренный ген будет правильно регулироваться.