

基因编辑技术概况研究报告

中国科学技术信息研究所

2019年7月

摘要

基因组编辑技术是一项可以与分子克隆、PCR 等技术相媲美的技术突破。上世纪 80 年代，科学家在小鼠胚胎干细胞中通过基因打靶技术实现了基因编辑（2007 年诺贝尔生理医学奖），但此技术在其余细胞内效率极低，应用受到了极大的限制；上世纪 90 年代，基于细胞内不同锌指蛋白可特异性识别 DNA 上 3 联碱基的特征以及核酸酶 FokI 二聚化后可以切割 DNA 的特点，人们通过锌指蛋白偶联 FokI 的策略逐渐发展出了一种新的基因编辑技术--锌指蛋白核酸酶技术（Zinc Finger Nucleases, ZFNs）。随后，基于改造后的植物病原菌中黄单胞菌属的 TAL 蛋白可以特异性识别 DNA 中一个碱基的特性，人们又发展出了新的基因组编辑技术——转录激活样因子核酸酶技术(Transcription activator-like effector nucleases, TALENs)。近年来，基于细菌规律成簇的间隔短回文重复序列(Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats, CRISPR)系统发展而来的新一代基因组编辑技术--CRISPR/Cas9 技术，使得基因编辑变得更为简易、高效。2014 年 Nature Methods 将基因组编辑技术评为过去 10 年间对生物学研究最有影响力的 10 项研究方法之一。最近治疗性基因编辑研究的指数级增长得益于近三十年来基因治疗的基础研究突破。

关键词：基因编辑；合成生物学；CRISPR

目录

摘要.....	1
1 合成生物学概况.....	1
2 基因编辑概况.....	4
2.1 基因编辑简介.....	4
2.2 基因编辑原理.....	4
2.3 基因编辑技术市场分析.....	8
2.4 基因编辑的应用.....	12
2.5 基因编辑道德伦理安全风险.....	15
2.6 基因编辑主要企业汇总.....	20
2.6.1 国内基因编辑主要企业汇总.....	20
2.6.2 国外基因编辑公司汇总.....	25
3 CRISPR 概况.....	32
3.1 CRISPR 简介.....	32
3.2 CRISPR 发展.....	32
3.3 CRISPR 技术起源.....	32
3.4 CRISPR 技术原理.....	33
3.5 CRISPR 应用范围.....	35
3.6 CRISPR 存在问题.....	35
3.7 CRISPR 商业价值.....	36
3.8 CRISPR 相关企业.....	38