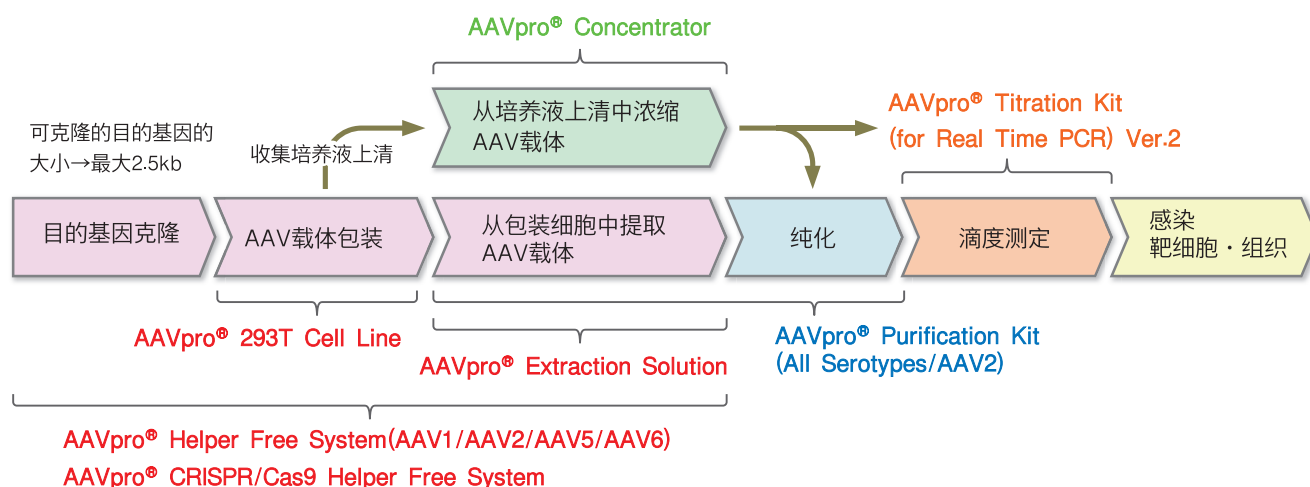


乘风破浪，攻克难题：腺相关病毒基因导入解决方案

腺相关病毒（AAV）载体是基因功能和建立疾病模型的重要研究工具，也是广受认可的基因治疗导入平台，在人类肿瘤或许多重大疾病治疗研究方面展示出了巨大潜力。而 CRISPR/Cas9 基因编辑技术，由于其高效的基因组DNA编辑效率，在遗传疾病的治疗方面也备受瞩目。因此 AAV 与 CRISPR/Cas9 的相遇注定不平凡，利用 AAV 载体导入 CRISPR/Cas9 进行基因治疗，可以让更多无望治疗的疾病变成有望治愈，将基因治疗推向了一个新高度。Takara 完备的 AAV 基因导入解决方案，助您乘风破浪、攻克基因治疗难题。



扫一扫了解
乘风破浪的 AAV 载体



在 AAV-CRISPR 系统方面，Takara 可以为您提供酿脓链球菌（*Streptococcus pyogenes*）和金黄色葡萄球菌（*Staphylococcus aureus*）来源的 Cas9 系统。

☆ AAVpro® CRISPR/Cas9 Helper Free System(AAV2) (Code No. 632608)

酿脓链球菌来源的 Cas9 (SpCas9) 基因较大 (约为 4.1 kb)，被分为两段分别克隆在两个载体上，从而实现 Cas9 基因导入。

☆ AAVpro® CRISPR/SaCas9 Helper Free System(AAV2) (Code No. 632619)

金黄色葡萄球菌来源的 Cas9 (SaCas9) 基因较小 (约为 3.3 kb)，可实现使用单个 AAV 载体进行基因编辑。

SpCas9 和 SaCas9 比较

产品名称	AAVpro® CRISPR/Cas9 Helper Free System(AAV2)	AAVpro® CRISPR/SaCas9 Helper Free System(AAV2)
Code No.	632608	632619
载体	双载体系统	单载体系统
Cas9 来源	<i>S. pyogenes</i> (酿脓链球菌)	<i>S. aureus</i> (金黄色葡萄球菌)
Cas9 蛋白质	1,368 个氨基酸	1,053 个氨基酸
PAM 序列※	5'-NGG-3'	5'-NNGRR (T) -3'
特点	常用 Cas9	Cas9 较小，单载体导入

※ N 代表任意碱基，R 代表 A 或者 G 碱基，(T) 首选推荐—详细请参见操作手册。

【参考文献】

1. Targeted gene knock-in by homology-directed genome editing using Cas9 ribonucleoprotein and AAV donor delivery. Gaj T, Staahl BT, et al., *Nucleic Acids Res* 2017; doi: 10.1093/nar/gkx154. [Epub ahead of print].
2. *In vivo* genome editing using *Staphylococcus aureus* Cas9. Ran FA, et al., *Nature* 2015; **520**: 186-191.
3. *In vivo* genome editing improves muscle function in a mouse model of Duchenne muscular dystrophy. Nelson CE, et al., *Science* 2016; **351**: 403-407.