

科技部新聞稿

基因編輯技術開啟遺傳性疾病、突變基因性疾病治療新紀元

~臺灣年輕科學家參與盛宴~

日期：107 年 7 月 9 日

發稿單位：駐舊金山科技組

聯絡人(1)：葉至誠組長

電話：1(408)318-8837

E-mail：ccyeh@sciencesf.org

聯絡人(2)：新聞組宋昂南專員

電話：02-2737-7282

E-mail：mlsung@most.gov.tw

美國加州大學柏克萊分校珍妮佛·唐納(Jennifer Doudna)博士繼 6 年前提出基因編輯技術科學論文發表與專利申請、去年獲得歐洲專利局之專利，今年 6 月 19 日進一步獲得美國專利商標局所頒發的專利。此技術的專利核頒代表兩大意義：基因編輯的效率已快到足以產業應用，同時可以更廣泛應用到植物、動物及人類的真核細胞。它已被視為顛覆現有基因性疾病療法的革命性新技術，各前沿科技公司已啟動在各領域的應用布局，搶占基因編輯療法的藍海市場。唐納博士與來自臺灣參與該實驗室的黃君豪博士後研究員並已將最新基因編輯技術在癌症治療和偵測上的最新應用綜述發表於今年 7 月份細胞出版社的癌症趨勢期刊 (Applications of CRISPR-Cas Enzymes in Cancer Therapeutics and Detection. Trends in Cancer - Cell Press)，同時獲選為封面。

革命性的基因性疾病治療策略—CRISPR-Cas9 平台

對於現代許多遺傳性或突變基因性疾病，如鎌狀細胞性貧血、腫瘤、罕見性疾病、人類免疫缺陷致病毒感染...等，目前多為症狀處理治療，往往無法根治，而運用基因編輯技術則可針對引發疾病的有缺陷基因進行切割、修復、活化，或抑制而達到療癒的目的。

唐納博士與其研究伙伴伊曼紐·夏彭提耶博士(Emmanuelle Charpentier)所組成的研究團隊最早提出具有導航功能，有效率且可精準尋找到目標基因，進行切割、修復、活化、或抑制的機制，同時將

此機制轉成基因編輯平台，使其程式化、普及化，而得以產業應用。

掌握基因編輯技術布局即主宰未來基因生物醫療產業

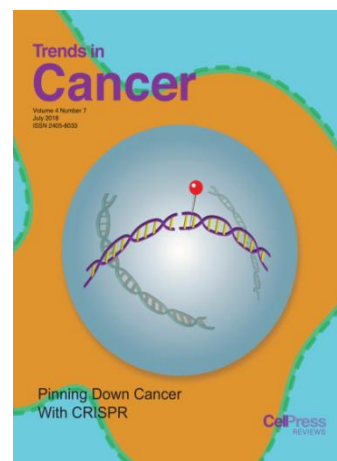
早於 2012 年，唐納博士所屬的加州大學(UC)即提出專利申請，過去這 6 年期間，唐納博士的研究團隊已陸陸續續將實驗室的研究成果技轉並成立新創公司，進行產業應用。其中，Caribou Biosciences 公司致力於生醫、農業及生物基礎研究的應用；Intellia Therapeutics 公司致力於癌症、免疫性疾病等人類生物醫療的應用研究。另外同樣致力於基因性醫學的變革，Editas Medicine 也是由唐納博士和張峰博士所共同創立；CRISPR Therapeutics 則是由伊曼紐·夏彭提耶博士所成立的基因編輯公司。上述四家之中，Intellia Therapeutics、Editas Medicine 與 CRISPR Therapeutics 皆為美國那斯達克上市公司。

今年，更多的基因編輯新功能及新應用正如火如荼的在矽谷產業化，Mammoth Biosciences 公司即為一例，它也是唐納博士的兩位博士班學生共同創辦的新公司，運用實驗室所研究出來的基因編輯技術來偵測特定疾病的 DNA。

此次美國專利商標局核准頒發 CRISPR-Cas9 基因編輯技術專利，將加速基因編輯技術在基因性疾病的研究與產業應用，人類將因 CRISPR-Cas9 基因編輯技術的突破性進展，其醫療模式也將有重大變革，對於全球醫藥產業也將產生重大衝擊。

表：基因可以被定位、切割、編輯的發現

發現	功能
• Cas9 蛋白	• <u>切割</u> ：可以剪切 DNA 的核糖酸內切酸。 • 科學家將其轉成真核生物也適用的基因編輯工具。
• crRNA • tracrRNA	• <u>定位</u> ：具備導航功能，可以將 Cas9 導向目標 DNA。
• sgRNA	• <u>更有效率的定位</u> ：具客製化的單鏈引導 RNA 更有效率的去尋找目標基因。



資料來源：Chun-Hao Huang, Ko-Chuan Lee, Jennifer A. Doudna. Applications of CRISPR-Cas Enzymes in Cancer Therapeutics and Detection. Trends Cancer. 2018 Jul;4(7):499-512. Cover design by Tzu-Hung