

# 科技部學術成果系列記者會新聞資料

## 諾貝爾獎助攻，臺基因治療大躍進- 基因編輯治療血液基因病變之創新策略

主持人：科技部謝達斌政務次長

報告人：臺北榮民總醫院醫學研究部邱士華醫師

109 年 11 月 5 日

## 科技部新聞稿

### 諾貝爾獎助攻，臺基因治療大躍進-

#### 基因編輯治療血液基因病變之創新策略

日期：109 年 11 月 5 日

聯絡人(1)：生命科學研究發展司 李慧欣博士

電話：(02)2737-7461

E-mail：hhlee@most.gov.tw

聯絡人(2)：自然科學及永續研究發展司 陳育珩博士

電話：(02)2737-8069

E-mail：yhchen100@most.gov.tw

科技部深耕基礎研究多年，從臺灣優質醫療獲國際高度肯定，反映出厚植基礎醫學研究能力，乃是國力之本。為提升國內奈米科技研發能量，科技部推動「奈米科技創新應用計畫」，從基礎研究扎根，透過自由探索的過程累積知識，進而衍伸至科技應用，造福人群。自 2017 年起，補助臺北榮總邱士華醫師進行奈米生技醫療相關研究，邱醫師結合陽明大學，並與美國加州大學洛杉磯分校 (UCLA) 跨國合作，成功運用 2020 年諾貝爾化學獎得主開發的「基因編輯 CRISPR/Cas9 技術」，搭載奈米基因傳遞系統，發展一「新式基因精準編輯治療創新平台」，可廣泛運用在血液疾病的基因修復。

正常成人的血紅蛋白 (HbA) 是由兩個  $\alpha$ -球蛋白和兩個  $\beta$ -球蛋白亞基 ( $\alpha\beta_2$ ) 的四聚體組成。血紅蛋白能與氧氣結合，主要功能是將氧氣從肺臟運送至身體其他組織。臨床上最常見的血液疾病：鐮狀貧血 (Sickle Cell Disease) 和  $\beta$ -地中海貧血 (Beta-Thalassemia) 就是因為  $\beta$ -球蛋白基因 (HBB) 突變，造成  $\beta$ -球蛋白的結構改變或產量降低，導致血紅蛋白產量或功能異常。目前臨床治療僅能藉由輸血或骨髓移植等方式來達到控制或減緩病徵，仍無可根治的療法出現。

為解決此一難以攻克的困境，在科技部的支持下，計畫團隊利用自我組裝超分子奈米分子與奈米探針科技，結合 CRISPR/Cas9 基因編輯技術，能夠高效率將完整 HBB 基因剪接進入血液細胞內，從而針對前述血液疾病患者提供一種安全、通用的治療方案。計畫團隊目前已完成活體外血液細胞精準編輯基因傳送多項概念驗證與研究技術突破，含兩種奈米技術的聯合策略作為有效的遞送平台，能夠將 CRISPR/Cas9 基因編輯

材料送到血液細胞中；此外，使用非病毒載體，證明能高效率利用 CRISPR/Cas9 技術，在長片段 DNA 序列進行基因編輯。相關成果於今年 10 月 23 日發表於頂尖期刊(*Science Advances*)，目前正積極申請國內外專利。

「基因編輯 CRISPR/Cas9 技術」利用分子生物技術有效率並精準地修改微生物、動植物與人類的去氧核糖核酸 (DNA)。邱醫師團隊過去已整合自我組裝超分子奈米分子包覆攜帶 CRISPR/Cas9，大幅提升基因編輯技術在先天性視網膜裂損症 (X-Link Retinoschisis; XLRS) 的效能 (今年 4 月發表於 *Advanced Science* 期刊)。本次成果為先前研究的再突破，除了成功開發出一以 (高分子奈米粒子線+奈米探針): 高效能攜帶 CRISPR/Cas9 載體至宿主細胞與活體組織內 之「新式基因精準編輯治療創新平台」，更提供了血液基因病變疾病，以及遺傳性視網膜疾病的新興治療方向。未來，期望將這些重要成果早日應用到病人身上，為患者帶來治癒的新希望！

## 研究成果聯絡人

邱士華 醫師/講座教授 Shih-Hwa Chiou, M.D., Ph.D.

臺北榮民總醫院醫學研究部部主任

國立陽明大學藥理所講座教授

聯絡電話(公)：(02) 2875-7394

電子郵件信箱：shchiou@vghtpe.gov.tw