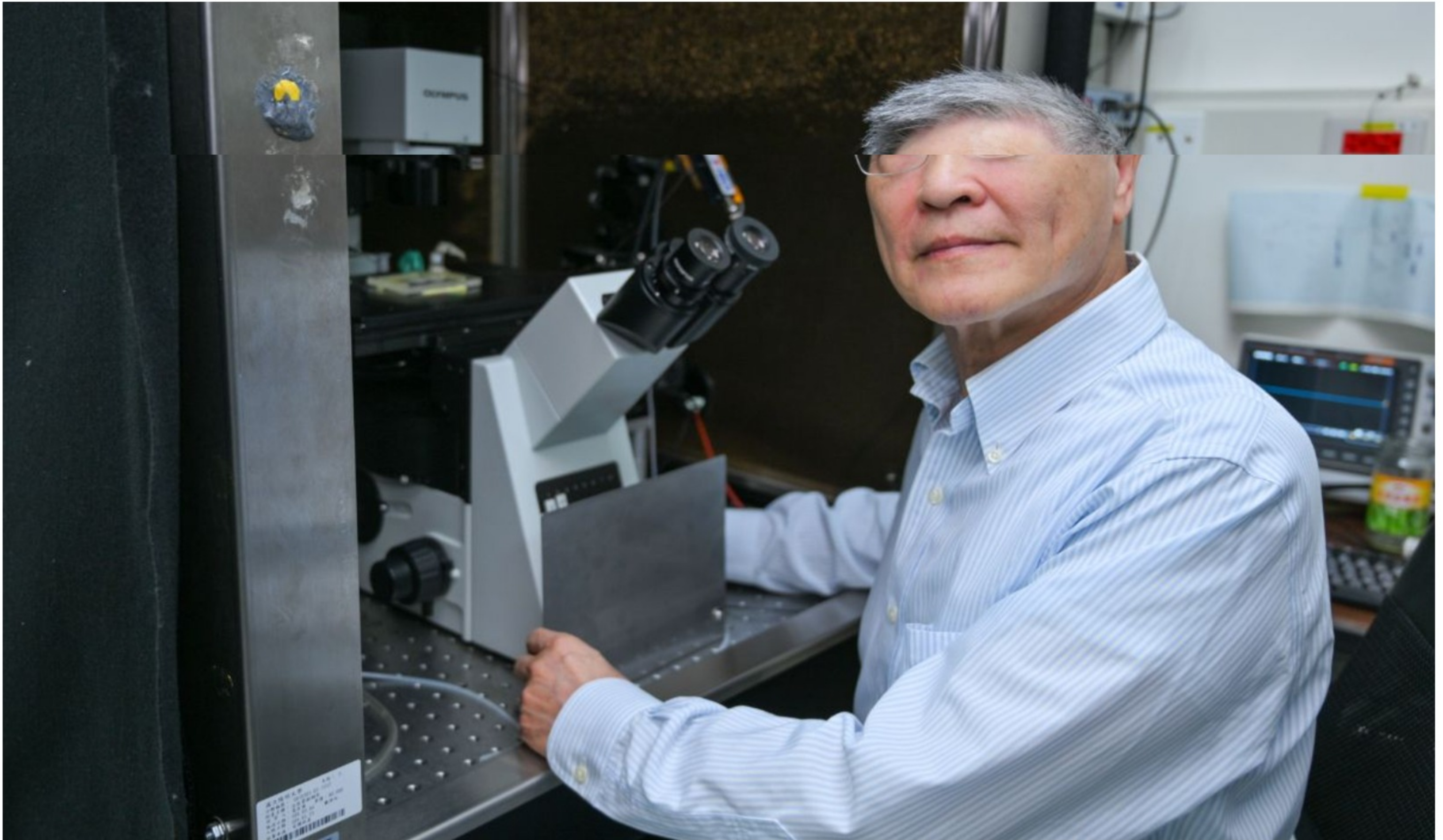


焦點新聞

[XML](#) | [JSON](#) | [EN](#)**科學** 发布日期：113-12-03

同樣的藥相同的基因為什麼對人有效·對豬無效?

**同樣的藥相同的基因 為什麼對人有效 對豬無效
科學家發現藥物改變囊性纖維化致病蛋白結構**

藉由解析囊性纖維化(cystic fibrosis)致病蛋白的結構，科學家發現藥物能改變該蛋白的構造，這一突破性成果將為囊性纖維化、腹瀉等疾病帶來全新一代的治療藥物。

CFTR蛋白在細胞中扮演氯離子（電解質的一種）傳輸的角色，並協助水分通過細胞膜，保持身體系統的正常運作。當CFTR發生缺陷突變時，細胞膜中負責電解質與水分傳輸的通道會被阻塞，導致囊性纖維化，影響呼吸和消化系統功能。而當CFTR活性過高時，水分傳輸過多則會引發分泌性腹瀉等病症。

藥理所教授黃自強運用冷凍電子顯微技術(Cryogenic electron microscopy, cryo-EM)，成功解析了CFTR蛋白的完整結構，並發現一些抑制劑可以結合在CFTR蛋白的特定區域，引發結構改變，進而降低其活性。這一機制，為過去不知道的藥理作用提出解答，也替治療囊性纖維化針對CFTR蛋白的藥物研發提供了新的方向和解釋。

特別有趣的是，豬也有CFTR，但同樣的抑制劑在豬身上的效果就不明顯。為了解答這個疑惑，研究團隊還特地將人與豬的CFTR蛋白結構上的片段互換，結果豬的CFTR蛋白對抑制劑的反應變得與人的CFTR幾乎一致，解釋了這些微小結構差異如何影響藥物的效果。

「能夠縮小至分子或原子的尺度，觀察細胞的運作，始終是我從事科學工作的夢想，」黃自強教授表示。過去，醫學研究大多從器官或細胞層面探討疾病，但這往往難以揭示病理機制和藥物作用原理，也限制了新一代藥物的開發。

黃自強說，大部分藥物的標的物都是蛋白質，但過去難以精確了解藥物如何與蛋白結合以及結合後如何影響其功能。冷凍電子顯微技術[1]讓科學家更輕鬆地解析蛋白質的結構，並開啟了基於這些結構的精準藥物設計的新大門。

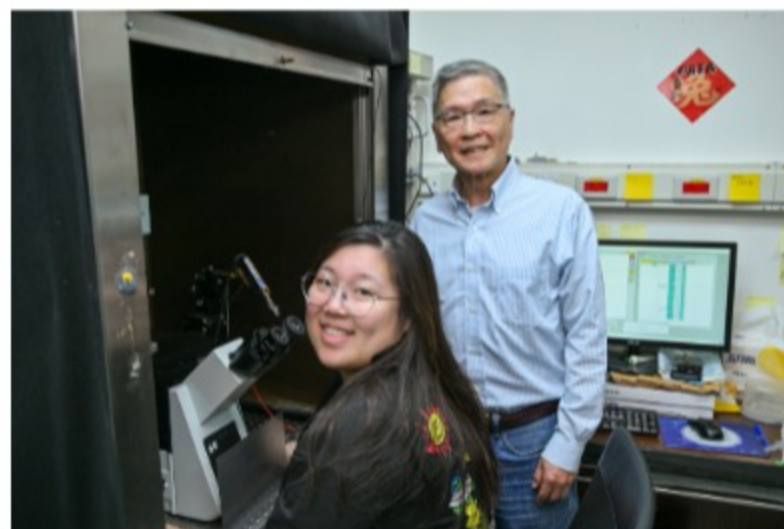
此次突破性發現刊登在《Nature Communications》，代表著科學家更進一步理解CFTR蛋白調控機制及其導致的囊性纖維化罕見疾病。隨著技術的進步，解析蛋白質結構的成功率大幅提升，這項研究成果有望推動針對囊性纖維化、分泌性腹瀉及多囊腎病的下一代藥物開發，帶來更多治療希望。

[1] 開發這項技術的英美瑞三位學者共享2017年諾貝爾化學獎殊榮。這項技術讓科學家可以在原子尺度觀察生物分子。

相關圖片：



藥理所黃自強教授專研囊性纖維化致病基因CFTR的研究



藥理所黃自強教授專研囊性纖維化致病基因CFTR的研究

[回上一頁 >](#)

▼ 展開

NYCU 國立陽明交通大學

[校址](#)：300093 新竹市東區大學路1001號

☎ 電話：+886-3-571-2121

從美國免費撥打：+1-833-220-6426

陽明校區

[地址](#)：112304 臺北市北投區立農街2段155號

☎ 電話：+886-2-2826-7000

交大校區

[地址](#)：300093 新竹市東區大學路1001號

☎ 電話：+886-3-571-2121