



LINE



陽明焦點

基因治療大躍進，邱士華教授團隊發展血液基因病變創新治療策略

科技部11月5日舉行的學術成果發表會，左起：科技部自然司羅夢凡司長、謝達斌政務次長、臺北榮總醫研部邱士華醫師、科技部生科司陳鴻震司長、臺北榮總醫研部周士傑助理研究員

臺北榮總醫學研究部邱士華醫師（陽明藥理所講座教授）結合陽明大學，與美國加州大學洛杉磯分校（UCLA）透過跨國性合作，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「新式基因精準編輯治療創新平台」，可廣泛運用在全身血液疾病的基因修復。

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，進而衍伸至科技應用，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。上述研究成果已於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，顯示台灣優質醫療獲國際高度肯定。

邱士華教授表示，正常成人的血紅蛋白（HbA）是由兩個 α -球蛋白和兩個 β -球蛋白亞基（ $\alpha_2\beta_2$ ）的四聚體組成。血紅蛋白能與氧結合，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 β -地中海貧血（Beta-Thalassemia），就是因為 β -球蛋白基因（HBB）突變，造成 β -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，至今仍無完全根治的療法出現。

臺北榮總醫研部醫師同時也是陽明藥理所講座教授的邱士華老師

為解決此一難以攻克的困境，在科技部的支持下，由臺北榮總、陽明大學、美國加州大學洛杉磯分校跨國合作，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，目前已完成活體外血液細胞精準編輯基因傳送之驗證。

此一重要的研究成果中，特別涵蓋多項概念驗證與研究技術突破，其中包括：1.兩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；2.使用非病毒載體證明能高效率利用CRISPR/Cas9技術在長片段DNA序列的基因編輯。以上成果目前已積極申請國內外專利。

邱士華教授表示，「基因編輯CRISPR/Cas9技術」是一種可以利用分子生物技術有效率並精準修改微生物、動植物與人類的去氧核糖核酸（DNA）。他們團隊先前已整合自我組裝超分子奈米分子包覆攜帶CRISPR/Cas9，大幅提升此技術在先天性視網膜裂損症（X-Link Retinoschisis; XLRs）的基因編輯效能（Advanced Science 2020 April）。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」，更提供血液基因病變疾病或遺傳性視網膜疾病新興治療方向，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！

邱士華老師（中）與實驗室成員

相關媒體報導

- 聯合報：[血友病有解？醫師學者攜手用基因編輯技術找治療方向](#)
- 自由時報：[基因編輯技術應用再突破！血液疾病治療可期](#)
- 民視新聞：[基因編輯技術大突破！地中海型貧血治療見曙光](#)
- 中央廣播電台：[「基因剪刀」不亂剪 台美研究視網膜病變等治療可望突破](#)

