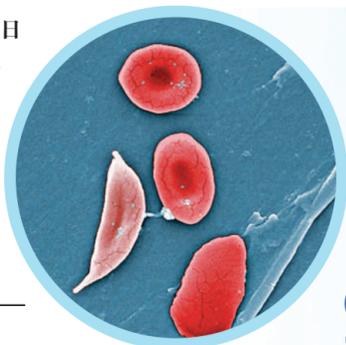


# 全球首款「基因剪刀」療法獲批准

## 精確修改DNA治療疾病 費用高達1700萬

【大公報訊】綜合法新社、路透社、《華爾街日報》報道：俗稱「基因剪刀」的CRISPR基因編輯技術，正從實驗室走向市場。美國食品藥品監督管理局（FDA）8日批准了全球首款採用CRISPR技術的療法，主要用於治療血液疾病中的鐮狀細胞疾病。相關技術獲得2020諾貝爾獎，未來應用的前景十分廣闊，但是治療費用昂貴，長期效用仍有待觀察。



▲顯微鏡下的鐮狀細胞病患者的紅細胞。

FDA當日批准了針對鐮狀細胞疾病的新基因療法，其中美國福泰製藥（Vertex）一種名為Casgevy的療法，成為美國首個獲批准上市的CRISPR基因編輯療法。這是一項極精確地改變動、植物和微生物DNA的基因編輯技術，如同「剪刀」一樣被用於編輯基因。該技術的發明者沙爾龐捷與道德納，在2020年獲得諾貝爾化學獎。

獲批上市的這項療法，先抽取患者的骨髓中造血幹細胞，在實驗室通過CRISPR技術進行編輯修改後，再移植回患者體內，整個療程需要住院約一個月。改造後的造血幹細胞，可以加速生成胎兒血紅蛋白（HbF），有效促進氧氣傳輸，防止紅細胞「鐮狀化」。

FDA治療產品辦公室主任凡爾登說，「基因療法有望提供更有針對性和更有效的治療，特別是對於目前治療選擇有限的罕見病患者。」

### FDA建議後續觀察15年

鐮狀細胞病是由血紅蛋白基因變異引發的遺傳性血液病。美國有超過10萬人患有鐮狀細胞貧血，其中非裔患者居多。鐮狀細胞疾病會導致疼痛甚至威脅生命，是醫學界試圖攻克

難題之一。目前，鐮狀細胞疾病的唯一長期治療方法是骨髓移植，但這需要匹配的捐獻者，並仍存在排異風險。

臨床試驗數據顯示，鐮狀細胞病患者接受這種基因編輯療法後至少12個月沒有出現嚴重疼痛的比例達97%。美媒指出，上述CRISPR療法獲FDA批准後，為那些長期令醫生束手無策的疾病，帶來了治療的曙光。

不過，《華爾街日報》評論指出，該療法商業化道路依然充滿挑戰。由於CRISPR療法屬於全新技術，目前有關該技術的長期影響的數據極其有限，因此該療法獲FDA批准後，藥企還要進行為期15年的後續觀察研究。FDA表示，接受療法的患者將要終生檢測，是否會產生惡性腫瘤。

臨床試驗數據顯示，在接受CRISPR治療後兩年的隨訪期內，31名患者中有29名出現明顯改善，至少一年沒有出現「嚴重疼痛」。不過，治療伴隨而來的副作用包括口腔潰瘍、噁心、腹痛和嘔吐。

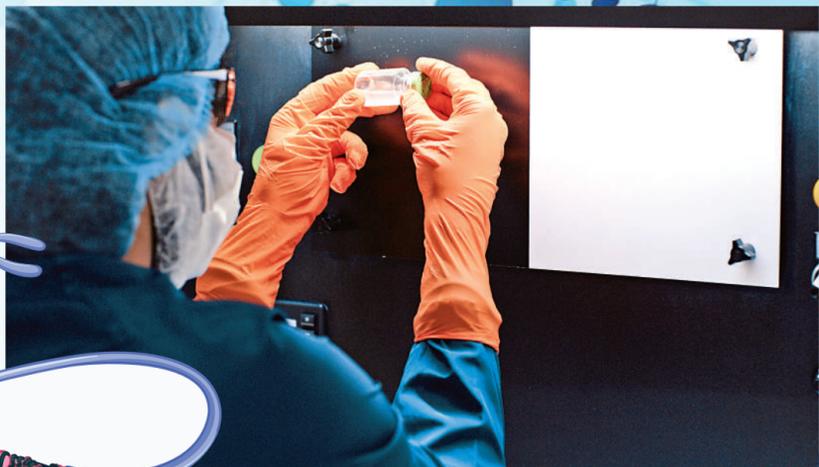
其次，這類療法普遍存在的問題就是費用昂貴。Casgevy療法為一次性療法，在美國的價格為220萬美元（約1716萬港元）。

CRISPR作為前沿技術，前後只用

了十年，就成功轉化為商業產品，速度驚人。目前，福泰製藥還有一種CRISPR療法正在接受FDA的審查，以治療輸血依賴型β地中海貧血患者。預計將於明年3月30日有結果。

### 未來或可修復大型器官

另外，多家研究機構目前正在開發基於CRISPR技術的其他療法，用於治療心臟病、癌症和罕見遺傳疾病。科學家們也在研究，通過該療法修復包括大腦在內的大型人體器官基因，或將有助於治療肌肉萎縮症、亨廷頓氏病等毀滅性疾病。下一代基因編輯技術有望使這種療法更容易實施，同時減少副作用。



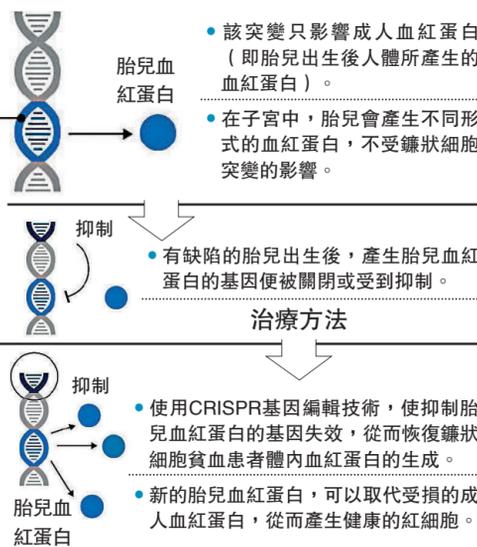
▲美國福泰製藥（Vertex）的Casgevy的療法，成為首個獲批准上市的CRISPR基因編輯療法。

### 基因剪刀如何治療

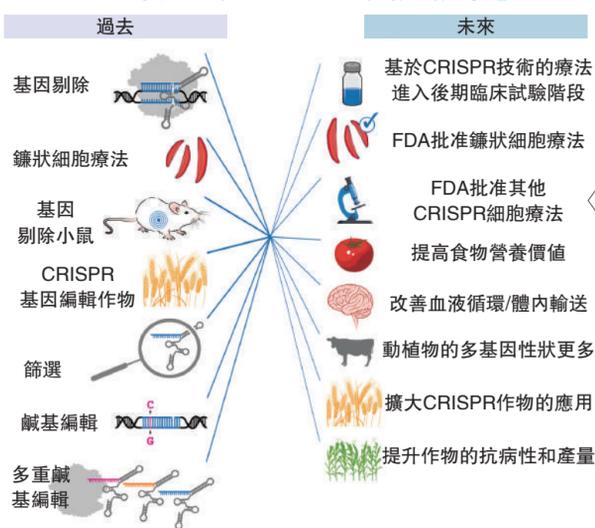
鐮狀細胞貧血（又稱鐮狀細胞病）是一種改變紅細胞形狀的遺傳性血液病。正常情況下，紅細胞呈圓形且富有彈性，而鐮狀細胞病會使其變成新月形，變得僵硬和黏稠。



病因：鐮狀細胞貧血是由產生血紅蛋白（紅細胞中的攜氧蛋白）的基因發生突變所引起的。



### 基因剪刀（CRISPR）技術的應用



### 話你知

1987年，日本科學家在大腸桿菌的研究中發現一種特殊的核酸內切酶，命名為CRISPR/Cas9，可用於切割DNA。2012年，法國科學家沙爾龐捷與美國科學家道德納發表了關於CRISPR技術的論文，短短11年已得到廣泛應用。除了醫學方面用於疾病治療，CRISPR技術在農業方面的潛力極大：可降低許多蔬菜的苦味和增強水果的風味，讓食品變得更好吃；培育出了抗病毒、細菌和真菌的農作物，應對極端的高溫和嚴寒；增大了水稻、小麥和玉米的粒徑，並培育出更大、更好的作物等等。

## 歐盟達協議 制定首部AI監管法律

【大公報訊】綜合《衛報》、彭博社報道：經過37小時的艱苦談判，歐盟8日宣布就《人工智能法案》達成協議，這部法案具有里程碑意義，將成為全球首個全面監管人工智能的法律。

為了達成協議，歐洲議會、歐盟成員國和歐盟委員會三方共100人，從12月6日起進行了22個小時的談判，8日再商議了15個小時，終於達成了協議。歐盟內部市場委員布雷東在社交媒體上形容，該協議是「歷史性」的，只「睡幾個小時都是值得的」。在美國政府沒有任何顯著動作的情况下，歐盟朝着人工智能政策邁出了關鍵一步，定下監管的基調。法案仍需得到歐盟成員國和歐洲議會的正式批准，最早要到2025年才能生效。

這部AI監管法律的具體內容，歐盟官員們提供的細節很少，最快會在月底前出具體文本。據透露，該法案將規定人工智能一般用途的保障、限制執法部門使用生物特徵識別系統、禁止社交媒體利用人工智能操縱評分或用戶。違規

者面對的罰款將從750萬歐元（或公司全球營業額的1.5%），到3500萬歐元（或者全球營業額的7%）不等。

哥倫比亞大學法學院教授布拉德福德稱，歐盟全面的監管AI，將成為其他國家監管AI的榜樣，不一定照搬每一條規定，但在很多方面會效仿。人工智能公司也可能會將歐盟法案的內容，延伸到歐盟以外的市場，因為訓練大型的AI模型需要投入大量資源，為不同市場重新培訓不同的AI模型，在技術和效率方面難度大。



▲歐盟宣布達成《人工智能法案》，圖為負責推動法案的歐盟內部市場委員布雷東。

**12月10日  
區選齊投票  
共建美好社區**

**BEA 東亞銀行**

