

# 港大研發新型基因編輯工具

【大公報訊】研發新型基因編輯工具，有助醫治更多遺傳疾病。香港大學李嘉誠醫學院生物醫學學院研究團隊最近成功研發出新型蛋白變體，命名為KKH- SaCas9- SAV1和SAV2。團隊表示，該項研發的目標準確度大大提升，能針對致病的等位基因進行編輯而不影響健康的等位基因，讓基因編輯應用於治療更多遺傳疾病時更為安全。相關研究成果，現已在國際科學期刊《Nucleic Acids Research》發表。

CRISPR- Cas9是一種能夠編輯活細胞中

指定的脫氧核糖核酸片段的強大工具，而將其應用於醫治帶有單鹼基突變疾病的需求一直相當大，而現有的技術能力十分有限。

港大研究團隊成功研發出源自金黃葡萄球菌的Cas9 (SaCas9) 核酸酶的新型蛋白變體，命名為KKH- SaCas9- SAV1和SAV2。相對於原型的目標準確度大大提升，具體來說，KKH- SaCas9- SAV2減少了超過95%在編輯人體細胞DNA上的脫靶現象，同時保留了超過80%原型SaCas9的編輯能力。

團隊又發現了KKH- SaCas9- SAV1和

SAV2區分單鹼基變異目標，包括遠離PAM位置者的獨特功能。這項發現可將基因編輯的範圍擴大到許多以前無法重點治療的單一突變及與SNP相關的疾病，同時避免在編輯過程中影響與之高度相似的健康等位基因。

領導研究的港大醫學院生物醫學學院助理教授黃兆麟表示，團隊研發的新型KKH- SaCas9是一種十分重要的核酸酶，可應用於精確地編輯生物醫學治療目標及體內基因編輯等方面。這可能使基因編輯應用於治療更多遺傳疾病時更為安全。