

BIOTECHGAZINE

生物科技誌

Jan 2025
一月號

主席隨筆
擁抱生物科技的全新未來

政策觀察
中國細胞治療將步入「規範化時代」

展會精彩回顧
細胞治療的明天已將至

觀點與評論
從咖啡豆觀察生物科技對於實現「共同富裕」的重要性

生物科技傳奇
2024年生物科技大事記

專題訪談
基因治療：香港與內地攜手共拓的新機遇



掃碼免費訂閱

BIOTECHGAZINE

生物科技誌

編輯委員會 Editorial Committee

JAN 2025
一月號

總編輯 Chief Editor

于常海
YU Cheung-Hoi, Albert

副總編輯 Deputy Chief Editor

陳一諤
CHAN Yi-Ngok

編輯 Editors

韓京
HAN Jing

李冠儒
LI Charles Kwun Yu

曾瑞英
TSANG Sue

殷志慧
YIN Yuki

出版社 Publisher

海康生命出版社有限公司 H. K. Life Publishing Limited

電話 Tel: (852) 2111 2123

傳真 Fax: (852) 2111 9762

電郵 Email: editorial@hkbio.org.hk

地址 香港新界沙田石門安耀街3號 匯達大廈1615-18室
Units 15-18, 16/F South Wing Delta House, 3 On Yiu Street, Shatin, N.T. Hong Kong

廣告查詢 Advertising

電郵 Email: editorial@hkbio.org.hk

出版日期 Publishing Date 2025年一月 JAN 2025

定價 Price HK\$60

ISSN 2959-6971

版權所有，未經本會及作者同意，不得翻印

All reproduction requests are subject to the approval of HKBIO and authors



目錄

主席隨筆

04 / 擁抱生物科技的全新未來

新聞焦點

06 / 基因編輯新突破

中國首款幹細胞治療藥品獲批

美國禁止某些生科設備出口

07 / 城大成立生物醫學學院

港科大與微軟亞洲研究院簽署戰略合作

政策觀察

08 / 中國細胞治療將步入「規範化時代」

展會精彩回顧

10 / 細胞治療的明天已將至

contents

觀點與評論

- 15 / 從咖啡豆觀察生物科技對於實現「共同富裕」的重要性
- 18 / 跨境授權、反向並購：生物科技企業「出海偏方」有幾何？
- 21 / 淺談基因治療的安全及倫理問題

生物科技傳奇

- 23 / 2024年生物科技大事記
- 26 / 諾貝爾百科

專題訪談

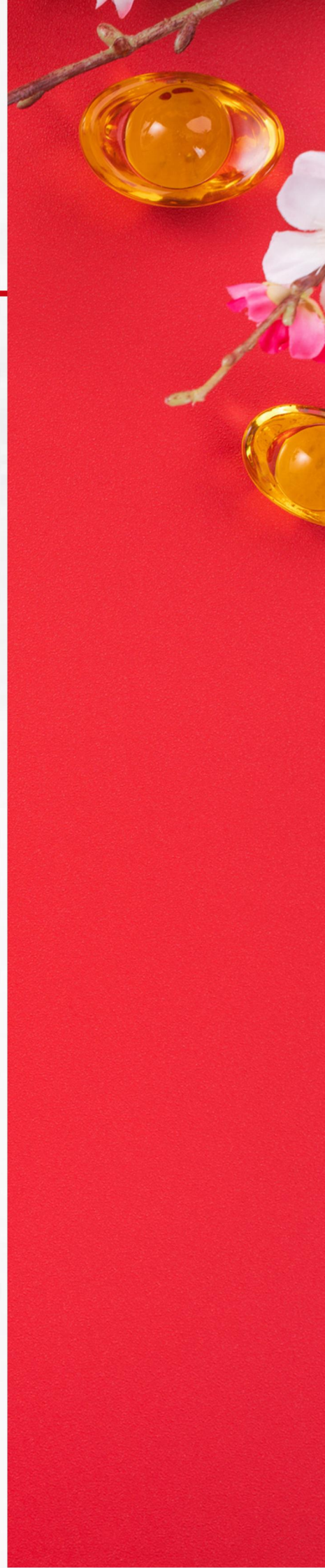
- 27 / 基因治療：香港與內地攜手共拓的新機遇

生物科技前沿

- 31 / 新技術——完整基因竟能分開遞送

33 / 會員快訊

34 / 征稿通知





香港生物科技協會
祝您新年快樂！

Lunar
New Year
2025

Year of the Snake



主席隨筆

Chairman's
Note

擁抱生物科技的全新未來

昨夜鬥回北，今朝歲起東。在這辭舊迎新之際，我謹代表香港生物科技協會及《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》編委會向廣大讀者致以最誠摯的新年祝福！願新的一年如春風化雨，帶給您健康、快樂與豐收。

迎新，是時間的輪回，也是希望的播種。新的一年是新的開始，是我們展望未來、總結過去的良機。在這個充滿活力的時代，我們見證了生物科技領域的飛速發展。尤其是細胞治療和基因治療這兩大新技術，它們正以前所未有的速度和力度，改變著我們對疾病治療的傳統認知。這些前沿技術不僅為我們提供了全新的治療思路，也為科學研究注入了新的活力。在去年的BIOHK2024香港國際生物科技論壇暨展覽上，我們也聚焦這兩項新的技術，舉辦了多場學術報告和主題論壇。其中，新加坡國立癌症中心副總裁杜漢忠教授分享了細胞治療的前沿進展和光明前景，給與會者帶來了極大的啟發。本刊將演講內容進行了翻譯整理，供廣大讀者閱讀。

在剛剛過去的1月，中國國家藥品監督管理局批准了我國首款幹細胞治療產品。隨後，又發佈了《細胞治療產品生產檢查指南》（簡稱《指南》）。這證明國家對於發展以及規範細胞治療市場的決心。本刊也對《指南》內容進行了提煉。

在產業發展的過程中，離不開政府，也離不開優秀的企業。香港生物科技協會的會員中，不乏細胞治療和基因治療的領軍者。我們特別邀請到其中一家企業的負責人，為我們從企業的角度來探討基因治療的發展。當然，我們不能只顧向前發展，而忽略潛在隱患，本刊亦有文章對基因治療的安全性和倫理問題進行討論。還有更多精彩內容，請翻閱刊內文章。

迎新，是挑戰的接受，也是卓越的追求。在新的一年裏，我們將不懈努力，致力於提升BIOHK2025香港國際生物科技論壇暨展覽的品質。我們計畫通過引入更多國際化的視角、前沿的技術展示和深度的行業對話，為參會者打造一個更加精彩、更具價值的交流平臺，共同推動生物科技領域的創新與進步。我們期待與您在現場共同交流、碰撞思想的火花，共同推動生物科技的進步。

迎新，是視野的拓展，也是合作的深化。為了搭建一個更加開放和互動的交流環境，本雜誌特別推出了讀者投稿渠道。我們熱切期待廣大讀者不吝賜稿，無論是在實驗室的突破性發現，還是在行業實踐中的寶貴經驗，抑或是對生物科技未來趨勢的深刻洞察，都將成為我們共同成長的寶貴財富。投稿方式及要求，請見本刊34頁。

新的一年，是夢想的起航，也是奮鬥的繼續。讓我們攜手並進，在生物科技這片充滿無限可能的廣闊天地中，共同書寫新的篇章。在此，再次祝願廣大讀者在新的年裏，事業蒸蒸日上，家庭美滿幸福，與《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》一起，擁抱生物科技全新的未來！



于常海 教授

香港生物科技協會主席
《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》總編輯

生物科技新聞速覽

BIO NEWS SCAN

*文章由《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》編輯部編輯整理



1

美國

基因編輯新突破

1月，麻省理工學院張鋒教授團隊在《Nature Communications》雜誌發表了最新研究成果，他們對用於CRISPR基因編輯治療的Cas核酸酶SaCas9和AsCas12a進行了理性工程化改造，設計出了具有最小化免疫原性的突變體，突變體在保持與野生型相當的活性和特異性情況下，顯著降低了免疫原性。

CRISPR基因編輯如今應用廣泛，但是這種方法面臨的一大挑戰在於其潛在的免疫原性。CRISPR基因編輯所依賴的核酸酶來源於細菌，而許多患者對細菌來源的分子已經有預先存在的免疫反應。也就是說，多數情況下進入人體的CRISPR基因編輯工具會被免疫系統識別和消滅。

研究團隊設計了可以逃

逸免疫檢測的突變體，並且在小鼠的實驗中證實，與野生型核酸酶相比突變體有效地減少了體液免疫反應和細胞免疫反應，同時保持了與野生型相當的活性和特異性。

這些結果為改造治療性蛋白以降低免疫原性提供了框架，並為開發更安全的基於CRISPR的基因編輯療法奠定了基礎。

2

中國

首款幹細胞治療藥品獲批

1月2日，中國國家藥品監督管理局（NMPA）批准了鉑生卓越生物科技（北京）有限公司的幹細胞療法「艾米邁托賽」上市，用於治療14歲以上消化道受累為主的激素治療失敗的急性移植物抗宿主病，這是國內首款獲批上市的幹細胞療法。

移植物抗宿主病是異基

因造血幹細胞移植術後的主要併發症，累及皮膚、胃腸道、肝、肺和黏膜表面等，是異基因造血幹細胞移植術後非復發性死亡的原因之一。

此次獲批的艾米邁托賽是一種基於間充質幹細胞的治療產品。該藥品作為處方藥上市，將在醫院憑醫生處方用於治療相應疾病，為患者提供新的治療選擇。

據國家藥監局審評中心副主任王濤介紹，自2017年起，我國幹細胞一共批准了120多款藥品進入臨床試驗階段，適應證包括血液系統、呼吸系統、心血管系統和一些自身免疫疾病。這充分顯示了細胞治療領域強勁的發展勢頭。

3

美國

禁止某些生科設備出口

當地時間1月16日，美國商務部工業安全局發佈一項臨時最終規則，用以修訂出

口管理條例。以應對先進生物技術工具的發展和部署對美國國家安全和外交政策利益構成的威脅。該規則對某些生物技術設備及相關技術實施新的控制措施，並徵求公眾意見。

新的出口管制規定，未經美國許可，任何公司和個人禁止向中國及其他國家出口高參數流式細胞儀和用於蛋白質組學分析的液相色譜質譜儀。美國聲稱，這些設備能夠「生成高質量、高內容的生物數據，包括可用於促進人工智慧和生物設計工具開發的數據」。

規則要求，相關設備出口至特定國家和地區需獲得許可證，尤其是可能存在濫用或轉用於軍事用途的高風險國家。此外，出口至中國、澳門及被列為「國家組D:5」的國家將被默認拒絕。

對全球科研合作而言，這一管制措施猶如一場「風暴」。許多依賴美國進口此類儀器的科研機構和企業，面臨著巨大挑戰。



Isaiah Arkin教授
圖片來源於城大官網

中國香港

4 城大成立生物醫學學院

1月2日，香港城市大學（城大）宣佈成立生物醫學學院，旨在發揮城大在生物醫學科學、生物醫學工程、神經科學以及數碼醫學等方面的科研實力。

生物醫學學院於1月起正式運行，學院包括三個學系——生物醫學系、生物醫學工程學系和神經科學系。Isaiah Arkin教授將於3月起擔任生物醫學學院院長。Arkin教授現為城大生物醫學工程學系的傑出客座教授。他的研究專注於病毒膜蛋白領域，並在該領域作出重大貢獻。他曾在希伯來大學、劍橋大學和D.E.Shaw研究所任職。

2024年，城大創立了計算學院及數碼醫學研究院，旨在促進跨學科的交流與合作。新成立的生物醫學學院將在生命科學和健康技術方面進行前沿研究。同時，這也將吸引國際藥物和醫療器械企業在香港開展研究、進行開發和臨床試驗，加快香港建立「第一層審批」藥械監管機構的步伐。

中國香港

5 港科大與微軟亞洲研究院簽署戰略合作

1月13日，香港科技大學（港科大）與微軟亞洲研究院簽署戰略合作備忘錄，宣佈雙方將展開醫學健康領域的教育及研究協作，致力於加強人才培訓、革新智慧醫療服務及發展醫療科技研究等三大範疇，全面推動及提升未來醫學教育。

雙方將結合各自科研領域的優勢，攜手推動醫學健康領域的交流與合作。合作方向將涵蓋三大範疇，包括（1）利用尖端技術開拓創新醫學教育模式，以培養新一代醫學人才；（2）探索新興醫療服務模式，推動更有效率及更先進的智能醫療服務；（3）推動醫學健康領域的前沿研究，以人工智慧（AI）為本，推動基礎醫學、臨床研究及公共衛生的深度融合，追求科研突破及成果轉化。

過往，港科大於醫學領域取得不少極具影響力的研究突破，包括研發出能精準檢測阿爾茲海默病和輕度認知障礙的血液測試等。雙方的合作，將進一步加強港科大的教研實力。



中國細胞治療將步入「規範化時代」

*文章由《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》編輯部編輯整理

細胞治療作為未來醫學的關鍵領域，近幾年在全球範圍內迅速崛起。尤其在我國，發展特別迅速。然而，細胞治療產品的生產過程複雜且具有特殊性，對質量和安全管理要求極高。隨著市場的蓬勃發展，行業中也存在一些技術不成熟、生產不規範、虛假宣傳等問題。因此，對生產過程進行規範化，極為重要。

1月13日，國家藥品監督管理局食品藥品審核查驗中心正式發佈了《細胞治療產品生產檢查指南》（以下簡稱《指南》），這一新規的出臺無疑為細胞治療行業帶來了新的變革。作為細胞治療領域的重要規範檔，該指南旨在加強細胞治療產品的生產品質管理，確保產品的安全性與有效性，並進一步推動我國細胞治療產業的健康發展。

從適用範圍看，《指南》涉及細胞治療產品的生產的現場檢查，包括從供者材料的運輸、接收、產品生產和檢驗到成品放行、貯存和運輸的全過程，也包括直接用於細胞產品生產的基因修飾載體或其他賦予細胞特定功能的材料的生產、檢驗和放行等過程。指南對以下幾個方面進行了總體要求：

- 細胞治療產品供者材料來源於人體，具有天然的個體差異性，其來源、類型、用途、性質、功能、生物學活性、可能攜帶

的傳染病病原體等特徵，都有可能對產品品質與生產工藝造成影響。鑒於細胞治療產品的特殊性，檢查員應基於產品知識、運用品質風險管理的方法，結合產品的設計、工藝複雜程度、生產操作方式、廠房設施設備的佈局與配置等，以系統的思維開展檢查。

- 細胞治療產品不能終端除菌和除病毒，外源因數污染風險高，生產過程中使用的材料和加工條件為特定細胞和微生物的生長

提供條件，生產過程需要精心設計和控制，以免進一步增加產品的可變性，因此檢查時應特別關注無菌生產過程、安全性指標的監測，應重點檢查企業基於充分的風險評估，採取與已識別風險相適應的控制措施及有效性評價，如隔離或專用特定操作區域、適當的清潔消毒程式、使用密閉系統、使用一次性系統等。細胞治療產品上市許可持有人應制定污染控制策略，並隨著企業工藝、廠房等變更持續更新。

- 基於細胞的產品，生物材料引入的可變性在生產過程或者過程控制中無法消除，因此檢查時應特別關注企業對生物材料的有效控制、穩定的生產過程和過程控制。
- 細胞治療產品的供者材料（如血液、組織等）與產品，對貯存與運輸溫度和時限要求嚴格，穩定性易受影響。應在供者材料運輸、接收及產品生產、貯存、運輸全過程中監控供者材料、產品或生產環境的溫度及操作時限，確保在規定的溫度和時限內完成相應的操作。
- 細胞治療產品的生物材料主要來源於人體組織、細胞、血液等，應特別關注病原微生物感染篩查，尤其對於同種異體供者。但由於當前認知的有限，也可能存在未知的、未能檢測出的病原微生物等，檢查時應注意對人員、產品和環境的防護。

- 細胞治療產品應嚴格避免不同供者材料發生混淆、差錯，確保供者材料或細胞產品與患者之間的匹配性。因此，應重點關注自供者材料採集到產品使用全過程的正確標識系統與可追溯體系。該系統宜採用經驗證的電腦化系統，以實現對產品從供者到患者或從患者到供者的雙向追溯。
- 上市許可持有人與所有相關方（如：細胞治療產品生產企業、生物材料供應方、儲運服務方、委託檢驗方、醫療機構等）之間應簽訂協議，檢查時應關注協議規定的責任和技術要求等。

此外，《指南》分別從品質管理、廠房與設施設備、物料及產品、生產管理、品質控制、包裝和標籤、產品追溯系統、供者材料與醫療機構管理等方面進行了詳細地規定。

《指南》的正式推出，將顯著推動細胞治療產品生產企業進一步規範生產流程、提高品質管理標準，確保產品品質與安全性達到更高水準。這一舉措將有力促進我國細胞治療產業的健康、有序發展，為廣大患者帶來更加堅實可靠的治療希望。

《指南》全文，可點擊此處查看



In the mood for cell therapy — a better tomorrow has arrived



細胞治療的明天已將至

杜漢忠
Han Chong Toh

*文章根據大會錄像翻譯整理，如有出入，請以演講為準

新加坡國立癌症中心副總裁、杜克-新加坡國立大學醫學院教授

謝謝主持人的介紹，說實話，能和如此傑出的人物同台，包括盧寵茂局長、王宇教授和廖家傑教授，我感到非常榮幸。坦白地說，我雖然沒什麼名氣，也在大學裏致力於研究多年。我今天要談論的是細胞療法。說句題外話，其實我也是香港電影的忠實粉絲。事實上，在我小的時候，我想成為一名電影製作人，但新加坡沒有像香港那樣的電影產業，我只能放棄。我現在在新加坡國立癌症中心工作，同時也在新加坡國立大學醫學院教書。

在過去的兩天的時間裏，人們詢問我來自哪里，是做什麼工作的。因為並不是每個人都去過新加坡。大家都知道香港、深圳、北京和上海，但說實話，即使在這張放大的東南亞地圖上找到新加坡這個紅點也是相當困難的。我提到這些的原因是我們中有很多人與南洋有著聯繫，而我的根也深植於此。我父親今年94歲，他現在正在診所裏，作為一名心臟病專家為病人看病。

我的一名親人在15年前因肝癌去世，他是一名乙型肝炎病毒攜帶者。他的兄弟也因乙肝相關



東南亞地圖，圖片來源於網絡

的肝癌去世。因此，我非常感激王宇教授、廖家傑教授以及盧寵茂局長的工作。

我之所以展示東南亞的地圖，是因為我們的地理和人口結構與北亞非常不同。我們來看看印尼，這裏的人口有2.7億，規模和美國差不多。這些國家的醫療需求與英國等發達國家以及中國的許多城市非常不同。

那麼，我在新加坡的工作地點在哪里？圖片中的那個高樓，就是新加坡國立癌症中心。我應該澄清一下，國立癌症中心以其細胞療法而聞名，而不只是GMP設施。根據《新聞週

刊》雜誌的報導，我們是世界上最好的醫院之一。

我想回顧一下細胞治療和靶向治療的歷史。20世紀90年代末我在波士頓學習。這些照片上的一些人物你們可能認識，我加入了非常棒的研究小組。我展示這張幻燈片的原因，是20世紀90年代末和21世紀初，被稱為是靶向治療的黃金年代。然而事實上，當我到達波士頓開始從事細胞治療的學習和研究時，沒人會相信我會從事與腫瘤學實踐看似關聯不大的工作。

Brian Drucker教授發明了一種名為伊馬替尼的神奇藥物，這個藥物在美國FDA創下了審批時間最短的紀錄，因為每個使用這種藥物的患者都進入了完全緩解期。我想在場的所有的腫瘤學的專家對於這個藥物都非常熟悉。

當我身處波士頓的時候，還發生了一件難以置信的事件，來自香港的莫樹錦（Tony Mok）教授和他的團隊有了新的發現。香港的



新加坡國立癌症中心
圖片來源於網絡

各位觀眾應該對莫教授十分熟悉。在20世紀90年代末和21世紀初，他們的研究納入了既往非吸煙或輕度吸煙的肺癌患者，將他們隨機分配，分配他們接受聯合化療或者靶向治療。從莫教授的照片就可以看出來，他是來自香港的，因為他非常時尚。關於香港，我這裏還想多說一句。香港的人才濟濟，對於完成科學研究非常重要。IPASS研究是第一個證明靶向藥物（吉非替尼）在非小細胞肺癌中有效的研究。在過去的20年裏，這項研究變得非常著名。

我還是想把時間拉回到20世紀80年代。史蒂夫·羅森伯格醫生（Steven Rosenberg）為一位名叫琳達的女海軍軍人進行了治療。琳達接受了這種利用活化淋巴細胞的治療方法，疾病得到了完全緩解。至今，琳達已經無瘤生存了30多年。史蒂夫·羅森伯格醫生繼續在國立衛生研究院工作。在那之後，很多人對這個研究結果視而不見，因為很少有人真的想要關注這一領域。甚至在我攻讀細胞療法碩士學位的時候，也沒有人真正關心細胞療法。所以我在當時學習的時候甚至一度非常擔心自己後期的職業生涯。



伊馬替尼的發明者Brian Drucker教授
圖片來源於網絡



莫樹錦教授在BIOHK2023上演講

好了，接下來我來談一談細胞治療。與化療和靶向治療不同，細胞治療被稱為活體治療。化療藥通常會在幾周之內從體內排出。如果給某人服用抗生素，藥物會在一周之內排出體外。但是T細胞可以在體內存留很長時間。比如說給患者輸入700萬的T細胞，它們會在幾周到幾個月的時間內，擴增到1000倍。

事實上，它們不僅擴增了千倍，而且還具有所謂的記憶功能。因此，在《自然》雜誌的一篇論文中，展示了從三名患者身上培養的T細胞在10年後仍然保留著它們的記憶的情況。這些T細胞仍然能夠抗擊癌症。所以，這是非常了不起的。

這是我們許多人包括我的同事都非常熟悉的事情。現在著名的艾米莉·懷特海德（Emily Whitehead）在2012年接受了CAR-T治療，她是三個接受這種治療的患者之一，也是首位接受CAR-T治療後完全緩解的患者。這非常令人震驚，因為他們患上的是復發的急性淋巴細胞白血病，而在治療後，他們的癌症完全消失了。

現在我們知道，對於這樣的患者來說，有80%-90%會進入到緩解期，雖然50%的癌症仍然可能會復發。但老實說，從無法治癒到

50%的治癒率，這已經是非常大的進步了。現在艾米莉已經成長為一個漂亮的青少年了。

這張照片是Dario Campana教授，Dario教授目前在新加坡工作。對於熟悉他的朋友來說都知道，他與諾華公司之間曾經有一場因為知識產權引發的著名訴訟。Dario教授利用4-1BB做共刺激結構域，設計出新型的CAR-T細胞，大獲成功。然而，隨後他捲入了和諾華公司的知識產權爭端之中。最終，諾華公司同意支付專利費，用於相關知識產權

的授權。我們需要在其中學到的教訓是不要隨隨便便地處理知識產權。Dario Campana不僅是一位科學家，還是一名瑜伽大師。但是照片上的Dario不是特別開心，可能是因為訴訟的事情。

我知道我演講的時間緊迫，所以我想要快速地向你們概述細胞療法領域令人激動的進展。2024年2月，TIL治療獲得美國FDA的批准，用於治療黑色素瘤。FDA的批准是基於這種療法的二期單臂研究，這是一項涉及相當多患者的研究。在這項研究的153名患者中，31.4%的患者獲得了客觀緩解，54.2%的患者生存率超過12個月。其中包含8位患者達完全緩解，40位患者達部分緩解。

而荷蘭的John Haanen教授團隊實際上已經進行了關於TIL療法的III期臨床試驗，並且值得注意的是，他們得出的數據甚至比二期臨床試驗更加驚人。他們的試驗結果顯示，近



Dario Campana教授

50%的患者對TIL療法產生了應答，並且有20%接受治療的病患達成完全緩解。這確實非常出色。

我想提一下TCT-T細胞療法，這種療法是什麼呢？是將T細胞受體通過病毒移植到T細胞中，然後給予患者治療。這是一篇發表在《自然》雜誌上的文章，可以看到，在滑膜肉瘤中，這種療法的總體反應率非常不錯。滑膜肉瘤以及所有的脂肪肉瘤都是非常難以治療的疾病，我以前作為研究員的時候治療過這些疾病。坦白的說，TCR-T治療常常是諾貝爾獎的候選名單之一。這種方法非常特異，但也很直接。你可以針對一組蛋白質調整療法。

我還想提到的另一件事是，許多投資者最初對細胞和基因治療持謹慎態度，但過去兩年，他們非常關注這些療法。

這是來自北京的沈琳教授。沈教授在一個比較小的研究中，顯示了靶向Claudin18.2 (CLDN18.2) CAR-T療法在消化系統腫瘤中的療效和安全性。研究結果2022年發表在《Nature Medicine》上。這一研究納入的患者並不多，其中大多數患有胃癌或胃食管交界處癌。我們看看數據，在18例胃癌患者中——我是從事胃癌治療專業的，比較關心胃癌——ORR（客觀緩解率）為61.1%，DCR（疾病控制率）為83.3%，mPFS（中位無進展生存期）為5.6個月。實際上，沈琳教授和他的團隊今年在《Nature Medicine》雜誌上發表了更新的研究結果。我對它印象特別深刻。

這裏還有另一項涉及患有神經母細胞瘤的兒童的研究。神經母細胞瘤是兒童第三常見的惡性腫瘤，也是嬰兒中最常見的惡性腫瘤，患兒通常在1歲到2歲之間。研究利用第三代CAR-T療法，結合了IL-7和IL-15，它們的作用是為T細胞在體內存活更長時間提供額外的能量源。再次強調，對於實體腫瘤來說，這是一個巨大的挑戰。在這項研究中，27名兒童接受了治療，整體生存率為60%，33%的患兒實現

了完全緩解。在完成第一次治療後，這些孩子們就沒有其他的治療了。所以我再次強調，實驗結果非常驚人。

在最近熱播的影視劇《眼淚女王》中，女主角患上了一種罕見的癌症，僅剩三月生命。女主角在全球尋找各種治療方法和資源，終於收到歐洲研究中心的回復，CAR-T療法有機會治療這種腫瘤。抱歉，我沒有想要劇透的想法。這是想要借此說明，細胞療法如今的火熱程度。

這是我們進行的一項研究。現在，鼻咽癌在香港和廣東非常常見，大部分的鼻咽癌病例都出現在這裏。我們給予患者進行了T細胞治療，這是一個III期的臨床研究。現在，我非常喜歡T細胞，它們可以針對多個癌細胞發揮作用。

我曾是一家生物科技公司的成員，專注於細胞治療。對在座生物技術領域的各位來說，這是一家非常獨特的生物技術公司。我們是一家在III期臨床試驗的基礎上成立的公司，這是相當不尋常的。大多數生物技術公司都是從臨床前研究開始，然後是小規模研究，接著是I期研究。

在我們進行這項試驗的時候，大多數國家對CAR-T細胞療法還不熟悉，因為在此之前，只有少數人知道如何製造這些T細胞。這是一個III期試驗。針對晚期鼻咽癌的進行一線治療。試驗結果在一周前發表在《Annals of Oncology》上，比較了化療加T細胞與單獨化療的效果。

這些是參與試驗的國家。我們從馬來西亞和泰國開始，因為作為一家預算有限的公司，我們並沒有足夠的資金廣泛擴展。我的意思是，在這些國家進行試驗成本效益更高。然後我們擴展到了美國和其他地區。這個試驗仍然是世界上最大的針對實體瘤的T細胞療法試驗之一，並且它是我職業生涯中的重要一部分。



因為這個經歷，我老了很多，但我也想向製造這些T細胞的團隊表示敬意。他們以驚人的效率和能力完成T細胞的製造。為試驗中所有患者提供了所需的94%的T細胞。共有3000批次的貨物通過79條運輸線路運送。

你真的必須讚揚新加坡團隊能夠完成這項工作。這個成就與我無關。生產的T細胞數量是巨大的，因為我們進行了六次輸注。現在，壞消息是：我們的主要終點是總體生存率，我們未能達到目標。對於一家小型生物技術公司來說，這非常艱難。但這是一個殘酷的現實，因此持續的影響並不小。我們從中得到了很多教訓。比如許多站點缺乏細胞治療師。細胞治療是一種非常複雜的治療方法。所以，對於那些考慮進行臨床試驗的人，有許多的教訓值得學習。進行一次臨床試驗需要整個團隊共同的努力。這也是我在這樣大規模的研究中所獲得的有趣見解。

最後，我想分享最後兩張幻燈片，這些幻燈片突出了細胞療法在治療自身免疫疾病中的激動人心的進展。

我們來看看發表在《新英格蘭醫學雜誌》

上的論文，這篇論文涵蓋了難治性系統性硬化症、系統性紅斑狼瘡以及其他自身免疫疾病。正如我之前所提到的，針對CD19的CAR-T治療現在正在被用來治療更廣泛的疾病。這一篇研究結果令人驚歎，顯示了CAR-T細胞治療各種疾病的活躍度在增加。

我想對國家提出一些有關細胞療法的倡議。國家真的應該對細胞療法多進行一些關注。許多風險投資家和私人資助者由於生產細胞療法的困難和昂貴而猶豫不決。我們的目標是縮短生產細胞療法所需要的時間，也希望能夠降低生產高質量細胞的成本。我們希望確保新加坡有能力生產CAR-T細胞。如果從海外購買這些細胞，它們的價格可能會非常高。

我必須給予香港很大的讚揚，因為香港政府能夠完全補貼CAR-T細胞治療，使其對居民免費。所以如果你在香港，你可以免費接受CAR-T細胞治療。在新加坡，我們正在考慮適當的補貼水準，雖然不是免費的，但我們確實有補貼政策。最後，非常感謝你們邀請我來香港。請訪問我們在新加坡的機構，謝謝！



雲南咖啡種植基地 圖片來源於人民網

從咖啡豆觀察生物科技對於實現「共同富裕」的重要性

先前在雲南考察，每個細節都在提醒著我生物科技對於國家的重要性。這次容我以咖啡作為一個切入點，探討生物科技對於實現「共同富裕」的重要性。

佔中國9成9咖啡豆產量的雲南 卻未能有效創收

不知道大家是否知道，咖啡其實是僅次於原油的第二大大宗商品，所以擁有巨大的潛力。如果拉出一條咖啡產業鏈，一同進行深度的分析：其上游，即原料供給，占咖啡產業盈利的1%；中游以咖啡加工為主，例如開發、售賣精品咖啡，占6%；剩下的下游，就是高附加值的特殊咖啡產品，占93%。包括香港在

文/李冠儒
思哲研究所青年教育事務總監
高級研究員
香港生物科技協會研究所科技教育與普及政策顧問

內的地區（國家），基本上都經歷了從上游到下游的發展階段。一開始，往往無奈要不斷對外輸出原材料，然後慢慢走向技術端、品牌端。如果一直都在產業上游的話，基本上不會有很多盈利，也就不能改善本地人的生活品質。這就是為什麼，即便佔有中國9成9咖啡豆產量的雲南，實際上也沒有辦法大幅改善人民的生活水準，因為大部分咖啡農戶都處於上游，只能由一大群人攤分咖啡產業1%的盈利。

與此同時，咖啡市場尚未飽和，確實是高潛力的行業。目前頭三大的咖啡消費國是美國、巴西、日本；雖說在香港，或者說在內地的北京、上海等大城市經常能看到青年喝咖啡。但從整個中國來看的話，咖啡的消費以及普及率還是很低。悲觀的人表示，咖啡在中國似乎沒有太大市場；但對較為樂觀的人來說，他們看到的，其實是中國咖啡市場接近無限大的增長潛力。

所以問題就在於，要怎麼樣才能從上游走到下游呢？



新鮮的咖啡果，圖片來源於Canva

中國99%的咖啡豆產量只占全球1% 目前正在努力向中游前進

一個可堪玩味的現象就是，雲南雖然佔有中國99%的咖啡豆產量，但實際上也只占全球的1%。背後的原因很複雜，首先是雲南的土地有限，其實根本不能提高產量。這個時候，雲南就只能提高咖啡的品質。

回顧咖啡的流行史，歷史上有三次國際咖啡熱潮。第一次是1940-1960年，由雀巢、麥斯威爾為首的企業掀起。咖啡熱潮開始的契機，是因為即溶咖啡被發明，泡咖啡變得非常方便。然而，彼時即溶咖啡的推廣依然受到很多觀念上的限制，例如當年的大部分人都認為，好的太太就必須給丈夫沖咖啡，否則就是「bad wife」；第二次在1966-2000年，當時星巴克可謂獨領風騷。因為星巴克的出現，高品質的咖啡隨手可得；第三次是2003年至今，Blue Bottle Coffee等諸多新興咖啡集團百花齊放，讓大量精品咖啡變得隨手可得。第三次熱潮反映的，其實就是在沒有辦法繼續擴大規模的情況下，商家往往只能改為重視品質以求市場份額。也因此，精品咖啡店才會百花齊放，所以說中國目前的困境就是第三次熱潮的體現——除了提高品質以外別無選擇。

別無選擇的事情還有很多，例如有咖啡企業家反映「雲南基本上都是依靠人工採集咖啡的，所以成本往往比其他國家要高。雲南不能像巴西的咖啡田那般，可以選擇用機器採摘，能用機器是因為巴西平地少。人工採摘的話，成本就會高，海拔高的地區大概是1公斤1.5人民幣；而咖啡的品質跟海拔相關，要海拔高才好，所以好就意味著成本高；海拔低的，一般也要1公斤1人民幣…負責任的企業都宣導並且支援公平貿易（fair trade）。所以，中國咖啡農戶的工資能夠得到保障，並且漸漸變高，中國的咖啡企業都不得不考慮到在農民工資不斷上升的情況下，如何增加自己的利潤。」懂咖啡的人都知道，目前兩種主流的咖啡豆種類分別是羅布斯特（Robusta）與阿拉比卡（Arabica）。羅布斯特近期的價格經歷過數次暴漲的情況；而阿拉比卡量少，主要還由紐交所定價。雲南只能種植阿拉比卡的原因，主要是羅布斯特只能在海拔低的位置種植，例如越南就種植大量羅布斯特。以往雲南的阿拉比卡主要賣給雀巢，雀巢一般會每年買8 000噸，不過今年只買2 000噸，這是因為其他發展中國家售賣的阿拉比卡價格更便宜。如果雀巢不滿意農夫種植的阿拉比卡的品質，作為買方完全可以選擇不買。如果雀巢不買，以往中國農

民只能選擇降價拋售。不過，中國現在也有了規模很大的瑞幸咖啡，所以農民有需要時，完全可以選擇將咖啡豆賣給瑞幸，因此中國擁有自己的大型咖啡企業也是非常必要的，不過依然沒有辦法解決附加值有限以及咖啡豆價格波幅大等問題。

如今，即便雲南政府知道當地的咖啡只能走向高端，清楚雲南土地有限的劣勢，精品咖啡也並不是想做就能做。最根本的問題是，雲南的土壤主要是紅土，很多情況下根本種不出精品咖啡。因為土壤的原因，全球咖啡精品率只有10%，而雲南更是只有8%。如果沒有辦法通過生物科技改善土壤的營養的話，也很難期待精品豆的產量能夠上升。此外，如果要走向下游的話，就難免需要更高的技術加持以走向品牌化，例如從提煉出能夠用於減肥、塑形、抗衰乃至治病的成分，打造成保健品、化妝品甚至是藥物等等，這自然也屬於生物科技的範疇。

如果生物科技無法得到突破 中國咖啡農難逃剝削

上文已經提及，即便雲南在中國咖啡生產上佔有90%以上的壓倒性份額，但在全球範圍內微不足道，因此依舊沒有絲毫定價權。我的上一篇文章強調了昆明國際花卉拍賣交易中心對於中國爭取定價權的重要性，而我們在咖啡方面其實沒有獲得鮮花那般的突破。

要農民自己提高產品賦值的話，也是不可能的事。畢竟農民決定種咖啡的思路非常簡單，就是要賺到錢，要有銷售的管道。如果人



咖啡農在採摘咖啡 圖片來源於人民網

多，利潤就要壓低。這種情況下，農民不可能有錢進行研發，也就無法增加產品賦值。於是，他們就陷入了價格越來越低且賦值無法被提高的惡性循環。所以，讓農民自己提高附加值完全不現實。試想象，如果農民的收入剛好夠過日子的話，不可能有其他方面的尤其是技術的投入。個體的農戶非常脆弱，如果沒有穩定的銷售對象，那全球價格下降或者說波動比較大的時候，農民發現自己會因此虧錢，那麼他們只能砍掉咖啡樹，換種其他作物。更悲慘的是，咖啡種植的前期投入時間成本約4年，所以沉沒成本也非常高。鑒於在咖啡出口貿易方面，雲南依然處於咖啡上游，以原材料（咖啡豆）為主，加之咖啡豆的價格長期都有頗大的波動，所以咖啡種植戶受到的影響非常大，難逃剝削。

在國際貿易層面看來，即便咖啡的出口量能夠不斷擴大，但實際上，由於出口一般咖啡豆，購入的反而是精品咖啡豆。也因此，相關的貿易逆差也可以同時越擴越大，非常尷尬。

總的來說，正如咖啡企業家所反映那般，「咖啡豆淨利潤大不如前，農民往往只能改變加工處理的手段，多嘗試種精品豆…精品豆有花香等，例如用紅酒發酵。跟商業豆比較起來，假設說商業豆能賣36人民幣的話，紅酒發酵的（精品）豆一般可以賣到86人民幣。」換言之，加工處理能夠增加商家利潤。近期，圍繞咖啡產業，雲南政府已經提供了許多補助。但打造精品產區的成本實在高。哥倫比亞是打造精品咖啡品牌的成功案例，其設置了大量精品產區，形成了不同地貌、不同微環境，最後成就了不同的精品莊園，這就是他們所不斷提倡的「土地多元性」（land diversity）與精品豆關係。同時，哥倫比亞也經常舉辦消費者和農民一同交流的活動。但上述舉措，需要舉國的官產學研投一同配合，需要各自提供生物科技技術的支持，以及細心打磨相關政策配套。在這方面，不妨多借鑒外國的經驗。



跨境授權、反向並購 生物科技企業「出海偏方」有幾何？

*文章由《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》編輯部編輯整理

在全球化的浪潮中，生物科技企業面臨前所未有的機遇與挑戰。隨著國內市場的逐漸飽和，越來越多的企業將目光投向海外，尋求更廣闊的發展空間。自2020年起，中國生物科技企業出海開始爆發，這一爆發趨勢，不知不覺延續至2024年。然而海外市場的不確定性還是給生物科技企業帶來不小的挑戰。為迎接挑戰，各大企業紛紛嘗試各種出海模式。相比於傳統的自主出海的模式，跨境授權、反向並購等可在一定程度上降低出海的成本以及風險，可以算作出海的「偏方」。

跨境授權

跨境授權是指企業將其產品或技術的海外權益授權給跨國公司，由跨國公司做後期臨床研發和上市銷售，通過專利授權、權益轉賣等方式對外授權，按里程碑模式獲得各階段臨床成果以及商業化後的一定比例銷售分成。

2014年1月，船望制藥向諾華授權了兩款臨床階段管線，一項正在I/IIa期臨床的心血管

項目的海外權利，和一項正在I期臨床的心血管項目的全球權利，交易總金額高達41.65億美元。這筆交易總額，已經闖進中國藥企出海交易的TOP行列。

業內有人將研發的產品比喻成企業的「孩子」，自主出海的過程則是全力以赴地養育孩子。而跨境授權的方式則是將養育孩子的權利授權給了海外公司。很顯然，這種模式較為靈活，風險較小，也是目前國內企業出海的主要形式。但是同時這種「賣孩子」的方式業內亦

有質疑的聲音。普遍認為，這樣等同於將自己的成果拱手讓人。由於核心權益特別是銷售權益並未在自己手中，會導致綜合獲益相對有限。

NewCo模式

2024年，在生物科技企業出海熱議最多的話題，無異於NewCo這種全新出海模式的興起。所謂NewCo模式，指的是由資本組局成立NewCo，藥企將管線剝離給NewCo，獲得授權費用及股權。從定位來看，NewCo是介於借船出海和自主出海之間的新模式。

國內這一模式的嘗鮮者是恒瑞醫藥。2024年5月，恒瑞醫藥將GLP-1產品組合有償許可給美國Hercules公司。恒瑞醫藥能夠收取1.1億美元首付款和近期里程碑款，後續還包括里程碑款以及銷售分成，交易總額超60億美元。除了首付款、里程碑款等，恒瑞醫藥還將獲得Hercules 19.9%的股份。

這樣的模式相比於跨境授權，不僅能拿到實打實的首付款資金，還能通過股權鎖定後期收益。同時，在跨境授權中，由於跨國公司擁有諸多管線，如果將自己的產品授權給跨國公司後，其重視程度完全取決於跨國公司的管線佈局。而NewCo會集中資源推進自己管線，加速研發進度。

然而，此種出海模式並似乎不被廣大生物科技企業所接受。因為在這種模式下，原公司的掌控權會被不斷稀釋。有業內人士指出，NewCo模式適用情況很有限，基本上只適用於以下情況：第一，公司內部優先順序不高的管線；第二，直接授權給跨國公司有難度的管線；第三，公司沒有更好的出路，通過NewCo還能多一些可能性。

反向並購

反向並購亦稱「買殼上市」，是指非上市公司股東通過收購一家殼公司（上市公司）的股份控制該公司，再由該公司反向收購非上市公司的資產和業務，使之成為上市公司的子公司。

2024年12月，「創響生物」與納斯達克上市公司Ikena Oncology 宣佈已簽訂最終合併協議，創響生物將反向收購Ikena。合併後的公司計畫以「ImageneBio」的名稱運營，並專注於開發針對OX40的單克隆抗體IMG-007，用於治療特應性皮炎。對於創響生物而言，此舉成功登陸了美股市場，並掌握了上市公司的主導權，還為其提供了相對充足的資金支持，以保障未來的發展。

反向並購的方式可以順利開拓海外市場，並在之後對自身的產品依然握有主導權。然而這類企業並購模式通常伴隨著境外架構搭建等特殊條件，同時還需處理團隊整合、平臺對接等複雜工作，相較於產品管線對外授權交易等較為直接的方式，其操作過程更為煩瑣。因此，目前選擇這種出海模式的企業數量相對較少。

借香港為跳板

相比於直接出海到歐美市場，還有一種出海的方式也被業內人士所青睞。那就是通過香港這一「跳板」出海。香港擁有得天獨厚的地理位置、獨特的資本市場、國際化市場環境、完善的法律體系等優勢，可以扮演好「超級聯繫人」和「超級增值人」的角色，為企業出海提供非常有利的條件。更重要的是，在出海的過程中，如果由於市場波動、政策調整等原因，不得已退出海外市場時，可以「暫居」香

港，不至於讓出海成果「毀於一旦」。從研發角度來說，香港作為國際化大都市，有助於公司開展國際臨床，且所需付出的財力和物力遠低於歐美，一舉兩得。有了國際臨床，才有可能取得出海國家監管的批准上市銷售。

值得一提的是，香港政府也十分支持國內企業借助香港拓展至海外市場。如在《行政長官2024年施政報告》中，提出了諸多有利的政策，鼓勵內地企業通過香港出海。比如優化上市審批，吸引更多企業上市；投資推廣署與貿發局建立機制，加強對接，吸引內地企業到港建立國際或區域總部，為在港企業提供一站式多元專業諮詢服務助力「走出去」等。

2023年，諾輝健康宣佈，在香港落地研發中心，預計5年投入1億港幣；與此同時，諾輝健康首席科學家陳一友博士還將帶隊，在香港成立研究院，通過軟硬結合的方式研發國際化產品，為未來出海做準備。這是一個內地企業借由香港出海很好的實例。

由香港生物科技協會精心籌辦的BIOHK香港國際生物科技論壇暨展覽，每年九月如期而至，旨在構建一個生物科技領域的交流與合作平臺。大會為內地企業提供了一個接觸香港、接軌國際市場的寶貴機會，為它們順利「出海」奠定堅實基礎。在BIOHK2024上，我們舉辦了一系列涵蓋「生物科技政策」、「海外審批流程」以及「出海案例分析」等熱點主題的研討會，為與會者帶來了極具價值的參考和啟示。在即將到來的BIOHK2025上，我們將繼續圍繞這些關鍵議題展開深入探討，敬請各界人士持續關注。



BIOHK2025

香港國際生物科技論壇暨展覽

SEPTEMBER 10^{WED} - 13^{SAT}

HONG KONG CONVENTION AND EXHIBITION CENTRE

香港會議展覽中心

淺談基因治療的安全及倫理問題

近日，美國iECURE公司宣佈，他們為一名烏氨酸氨甲醯轉移酶缺乏症 (ornithine transcarbamylase deficiency, OTCD) 的患兒實施了基因編輯治療，並在治療6個月後，疾病達到了明顯治癒的效果。

OTCD是一種遺傳代謝性疾病，是因為基因突變引起體內的烏氨酸氨甲醯轉移酶缺乏導致的。如果想要對這種疾病進行徹底地治療，只能想辦法改變突變的基因。此次試驗利用的療法名為「ECUR-506」，是通過病毒將基因剪切酶和健康的基因輸入到體內，從而達到修正基因的效果。該項試驗先後獲得了澳大利亞治療用品管理局（TGA）、英國藥品和保健產品管理局（MHRA）和美國食品藥品監督管理局（FDA）的批准。目前這次治療效果幾乎達到了設想的最好狀態，且患兒的狀態十分「安全」。為何這裏要突出強調安全？這就不得不針對OTCD之前的一次臨床試驗。

時間拉回到1999年，沒錯，早在25年前就已經有針對OTCD基因治療的相關研究了。主導研究和試驗的是賓夕法尼亞大學基因治療研究所。一位飽受疾病折磨的18歲的青少年傑西（Jesse）參與了試驗。在知情同意書中，實驗方提及該試驗有萬分之一的概率因活檢導致患者死亡。雖然這是切實存在的風險，可比起試驗成功所帶來的巨大收益，它還不足以勸退被疾病折磨十幾年的傑西。不幸的是，意外發生了。傑西在接受治療時，本該被抑制的血氨迅速升高，最終永遠離開了人世。



*文章由《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》編輯部編輯整理

後續FDA對賓大的調查顯示，他們在實驗過程中涉及了大量的違規操作，這些操作對於傑西的死亡具有不可推卸的責任。這項試驗的風險，遠比知情同意中的萬分之一大得多。

FDA進而對賓大的其他研究進行了更深入的調查。結果發現多達18條違規行為。FDA因此終止了賓大基因治療研究所的大量研究，主導試驗的學者詹姆斯·威爾遜（James Wilson），也被處以禁止從事基因治療研究五年的處罰。

這一事件引發了世界對於基因治療安全性的關注。基因治療產品的產品類型、作用機制、體內作用和代謝特點與傳統藥物有著顯著的區別，且其技術迭代和升級迅速，不同類型產品製備工藝的複雜程度、潛在安全風險等也存在較大的差異。因此，我們需要不斷完善對於相關產品的技術評價標準，加強監管，才能儘量確保產品的品質穩定、療效確切、安全可靠。

提到基因編輯療法的安全性問題，不免聯想到其倫理問題。這裏也有一件震驚全球的事件。2018年，南方科技大學副教授賀建奎宣佈一對名為露露和娜娜的基因編輯嬰兒於11月在中國健康誕生，由於這對雙胞胎的一個基



傑西（左）
詹姆斯·威爾遜教授（右）
圖片來源於網絡

因（CCR5）經過修改，她們出生後即能天然抵抗愛滋病毒HIV。這一消息引起軒然大波，因為我國禁止利用安全性、有效性不確切的技術實施以生殖為目的的人類胚胎基因編輯活動。最終，經衛健委查明，賀建奎存在偽造倫理審查書開展試驗的行為。賀建奎最終因非法行醫罪入獄。

賀建奎所進行的基因編輯相比於目前針對OCTD等疾病研發的基因治療方式來說，最大的區別在於這是針對胚胎進行的基因編輯，也就是說，被基因編輯的嬰兒從出生時起，其基因就已經被修整過了。有人也許會說，被編輯的嬰兒去掉了相關致病基因，這樣對於他們不是很好嗎？從安全的角度來看，基因編輯並沒有想像得那麼完美。首先，將相關基因敲除，對於人體來說存在一定風險，比如25年前的OCTD治療的試驗，就導致了受試者的死亡，再比如賀建奎的試驗，可能會導致身體更容易遭受病毒入侵、誘發神經系統疾病和腫瘤。第二，基因編輯存在一定的脫靶的風險。基因編輯是針對身體內的「靶基因」進行編輯，而所謂的脫靶，就是對「靶基因」意外的正常基因發揮了作用。第三，也是最為重要的一點，賀建奎此次進行的是針對胚胎的編輯，嬰兒的所有細胞的遺傳信息都被進行了編輯，如果因此產生的基因風險或缺陷，是會再次遺傳到下一代中去的。從倫理學的角度來看，我們是否有權力對未出生的嬰兒進行基因的修正，以扮演

「上帝」的角色呢？這令人深思。如果開放了基因編輯，勢必會被權勢所利用，用於健康人的「基因增強」，進而加劇社會的不平等。基於此，各國普遍禁止可遺傳的人類基因編輯進行臨床應用。

列舉以上兩個還不算「古老」的例子，只是想說明，我們在風風火火朝前走的同時，不應忽視周邊潛在的隱患。當然，筆者也不想誇大基因治療基因編輯所帶來的安全問題和倫理問題。對於某項技術的認知，我們需要儘量客觀，既要認識到風險，也不能對其帶來的風險過度恐懼，否則只會限制這項技術的發展。為此，我們需要有嚴格的監管體系，來客觀地評估這項技術。

實際上，任何科研活動的目的都是價值中立的，是以求真為目的，尋求客觀世界的規律與知識。並不存在善惡。然而科學家在不同環境下站在不同立場上，其動機收到國家政治、商業利益等因素影響，其立場和動機並非都是價值中性的。科學研究的過程可能會侵犯他人的權利，技術應用可能會損害他人利益，這些都非價值中性的，是需作出「善惡」價值判斷，進而對科研進行嚴格倫理限制的。我們不能一味的完全禁止技術，真正應該做的是對於應用的方式、手段以及技術可以發展的範圍做出限定，在理解包容規範的框架下去完善技術，為其提供成長空間。

2024年生物科技大事記

*文章由《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》編輯部編輯整理

在充滿變革與突破的2024年，生物科技領域迎來了前所未有的繁榮與發展。這一年，眾多具有劃時代意義的事件相繼發生，它們不僅推動了生物科技的進步，還將對人類社會產生了深遠的影響。在此，我們將對部分影響力重大的事件進行盤點，回顧那些激動人心的進展。

CRISPR延續發展勢頭

2023年年底美國食品藥品監督管理局（FDA）和英國藥品健康管理局（MHRA）批准了美國藥企福泰制藥 Vertex Pharmaceuticals和瑞士基因編輯公司開發的基因編輯療法Casgevy的上市許可，用於治療12歲及以上鐮刀型細胞貧血病伴復發性血管閉塞危象患者，以及無法獲得人類白細胞抗原匹配造血幹細胞移植治療的輸血依賴性β地中海貧血患者。這是全世界首款獲批上市的CRISPR基因編輯療法。

2024年，基因編輯療法在針對各種遺傳疾病的臨床試驗中繼續取得重大進展。例如，Beam Therapeutics啟動了BEAM-302的I/II期臨床試驗。BEAM-302是一種碱基編輯治療候選藥物，這是首個針對基因突變的直接體內校正的基因編輯候選藥物，通過潛在的一次性治療解決α-1抗胰蛋白酶缺乏症的肺部和肝臟表現。

Intellia Therapeutics也公佈了其NTLA-2002的1/2期試驗令人鼓舞的中期數據。NTLA-2002是一種體內CRISPR基因編輯候選療法，通過脂質納米顆粒以mRNA形式遞送CRISPR-Cas9基因編輯系統，靶向血漿前激肽釋放酶（KLKB1）基因，使該蛋白失活以永久性降低血漿中激肽釋放酶活性，從而防止遺傳性血管水腫的發作。

阿爾茨海默病新藥

7月，美國FDA批准禮來的β澱粉樣蛋白（Aβ）多奈單抗注射液（donanemab）上市，用於治療早期症狀的阿爾茨海默病（AD）成年人。12月，多奈單抗注射液在中國獲批上市。這是繼倫卡單抗之後獲批的又一靶向藥物，同時也是唯一有證據支持在清除澱粉樣蛋白斑塊後可停藥的靶向澱粉樣蛋白療法。

根據藥物的三期臨床研究顯示，在疾病進展較早的人群中，接受多奈單抗注射液治療的患者在綜合阿爾茨海默病評分量表（iADRS），包含記憶、思維和日常功能的衰退速度與安慰劑相比顯著減緩了35%。同時，針對疾病更早階段受試者，多奈單抗在18個月內降低了最高達39%的疾病進展風險。在整體受試者人群中，與研究開始時相比，使用多奈單抗注射液6個月時平均減少了61%的澱粉樣蛋白斑塊。多奈單抗目前的給藥方案為每4周靜脈輸注1次，每次輸注約30分鐘，相比於倫卡奈單抗每兩周給藥一次，大大減少了治療次數。

阿爾茨海默病的藥物研發一直被稱為「死亡穀」。根據美國藥物生產與研發協會數據顯示，全球累計在阿爾茨海默病的研發投入超過6000億美元，失敗率高達99.6%。

目前，業界對多奈單抗普遍比較看好。但其療效究竟如何，還有待於應用到臨床後做進一步的觀察。

抗愛滋病新藥

2024年7月，由美國吉利德公司研發的新型抗愛滋病新藥——來那卡帕韋（Lenacapavir）的臨床試驗結果發表在《The New England Journal of Medicine》上。試驗結果顯示，該藥對於預防愛滋病毒感染的有效率達100%。

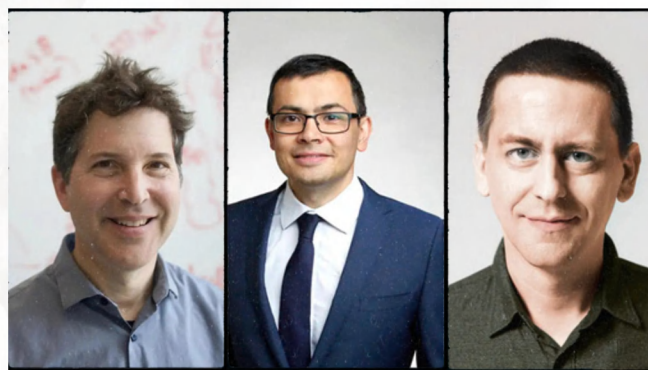
來那卡帕韋是一種HIV-1衣殼抑制劑，它的作用靶點是HIV病毒的「外殼」——衣殼蛋白。病毒的衣殼保護其遺傳物質，並幫助病毒進入宿主細胞的細胞核，從而完成病毒的複製。而來那卡帕韋的神奇之處在於，它可以通過多種方式干擾病毒的生命週期：阻止衣殼解體，使病毒無法釋放遺傳物質；干擾病毒運輸，讓病毒無法進入細胞核；抑制病毒成熟，使新生成的病毒無法繼續感染其他細胞。正因如此，來那卡帕韋對HIV的多種耐藥株也有顯著的效果。

與傳統的每日口服藥物不同，來那卡帕韋只需每六個月注射一次，這對於提高患者依從性、降低因忘記服藥而導致的預防失敗風險具有重要意義。

12月，美國食品藥品監督管理局和中國國家藥品監督管理局先後批准了來那卡帕韋的上市申請。



2024諾貝爾物理學獎獲得者
約翰·霍普菲爾德（左）
傑弗里·辛頓（右）
圖片來源於網絡



2024諾貝爾化學學獎獲得者
左至右分別為大衛·貝克、戴密斯·哈薩比斯、約翰·喬普
圖片來源於網絡

2024年諾貝爾獎AI成最大贏家

2024年諾貝爾獎在10月揭曉，其中，物理學獎和化學獎均與人工智慧領域相關。

諾貝爾物理學獎授予了美國科學家約翰·霍普菲爾德（John J. Hopfield）和加拿大科學家傑弗里·辛頓（Geoffrey E. Hinton），表彰他們「通過人工神經網路實現機器學習的基礎性發現和發明」。這兩位科學家利用物理學工具開發了今天強大的機器學習的基礎方法。約翰·霍普菲爾德創造了一種聯想記憶，可以存儲和重建圖像及其他類型的數據模式。傑弗里·辛頓發明了一種能夠自主發現數據屬性的方法，從而執行識別圖片中特定元素等任務。

諾貝爾化學獎授予了三位科學家，其中，一半授予美國華盛頓大學的大衛·貝克（David Baker），以表彰其在計算蛋白質設計方面的貢獻，另一半則共同授予英國倫敦人工智慧公司穀歌DeepMind公司的戴密斯·哈薩比斯（Demis Hassabis）和約翰·喬普（John M. Jumper）兩位「程式員」，以表彰其在蛋白質結構預測方面的貢獻。

這兩項諾貝爾獎的頒發，彰顯了人工智慧在當代科技創新中扮演的重要角色。同時，也體現了學科交叉與融合的至關重要性。它們告訴我們，不同學科之間的相互滲透、相互促進，是推動科技進步和創新發展的強大動力，這一趨勢正日益成為科學研究和技術革新的重要特徵。

CAR-T治療自身免疫疾病

2024年的多項研究結果顯示了CAR-T細胞療法在治療自身免疫性疾病方面的潛力。例如，2月德國研究團隊發表在《The New England Journal of Medicine》的研究結果顯示，首批接受CAR-T療法治療的15位嚴重自身免疫性疾病患者，在經過中位15個月的隨訪後，均顯示出持續的病情緩解或症狀大幅改善，並已停止所有免疫抑制與抗炎藥物的使用。

7月，來自中國人民解放軍海軍軍醫大學長征醫院的徐滬濟教授領銜的團隊在《Cell》上發表的研究成果也證實CAR-T療法對自身免疫病的效果。相比於2月發表在《The New England Journal of Medicine》上的研究，徐滬濟教授團隊的研究使用了來自獨立捐贈的細胞而非接受治療者本人，這對於大規模開展CAR-T細胞療法，降低其成本具有重要意義。

CAR-T療法在自身免疫性疾病方面的突破入選了《science》雜誌評選的年度十大科學突破，而徐滬濟教授也憑藉其研究成果，入選《Nature》雜誌評選的年度十大人物。



徐滬濟教授
圖片來源於網絡

異種器官移植

2024年，全球完成了多例異種器官移植。3月，麻省總醫院成功將經過基因編輯的豬腎移植到一名62歲腎衰竭的男子體內。這位患者患有多年的糖尿病、高血壓以及腎臟衰竭。他在2018年曾移植了一個人類腎臟，後來這個腎臟出現了衰竭。這位患者在今年移植後57天突發死亡。據治療團隊給出的信息，該患者的死亡原因為心臟問題，與腎臟移植無關。

4月，紐約大學朗格尼健康中心治療了一名54歲女性，該患者患有嚴重的心力衰竭、終末期腎病和多種慢性疾病。最終，治療團隊給這名患者進行了機械心臟泵和基因編輯豬腎移植聯合手術。手術後一個多月，移植的豬腎在患者體內因血流不足出現衰竭，被迫摘除。患者最終於7月去世。

5月，安徽醫科大學第一附屬醫院與雲南農業大學攜手，完成了一例經基因編輯的豬肝移植。患者是一位71歲的肝癌男性患者。患者術後狀況良好，沒有發生超急性和急性排斥反應，凝血系統也沒有受到障礙。後續的情況正在跟進中。

11月，紐約大學朗格尼健康中心治療為一名患者進行了豬腎移植。這位患者在1999年曾捐獻了一個腎臟給自己的母親，幾年後，因妊娠導致的高血壓，令她的腎臟出現衰竭。11月25日，這位患者接受了移植手術。這例豬腎經過了10處基因改造，消除了3種免疫原性抗原和一種豬生長激素受體，同時引入6個人類轉基因，使豬腎臟與人類腎臟更為相似，並降低免疫排斥的風險。目前這位患者已經出院擺脫了透析，其狀況正在進一步追蹤中。

諾貝爾百科

德爾布呂克（Max Delbrück）美籍德裔生物學家、物理學家。諾貝爾生理學或醫學獎獲得者。生於德國柏林，卒於美國帕薩迪納。1930年獲格丁根大學博士學位。1929~1932年先後在英國、瑞士和丹麥從事博士後研究。1932~1937年任凱撒·威廉皇家研究所助理研究員。1937年以後到美國加利福尼亞理工學院的摩爾根實驗室從事遺傳學研究。1938年德爾布呂克等人完成了著名的噬菌體“一級生長試驗”。1940年與在哥倫比亞大學任教的醫學博士盧里亞（S.E.Luria），創建了分子遺傳學“信息學派”。1942年盧里亞發現了細菌的自發突變，證明細菌的突變與環境的誘導無關，但與基因的變化有關。德爾布呂克改進了盧里亞的實驗方法，以物理學為基礎來研究生命現象的思想影響了後來DNA研究的發展，開闢了現代分子生物學的先河。被後人稱為“波動測試”，1945年發現不同的病毒遺傳物可以產生新的病毒品種，它們具有親代的特性。德爾布呂克因在遺傳學上取得的研究成果，與盧里亞、赫爾希（A.D.Hershey）共獲1969年諾貝爾生理學或醫學獎。



Max Delbrück
1906~1981

國籍：美國
專業：遺傳學
得獎年份：1969年
獎項：諾貝爾生理學或醫學獎

迪韋（Christian de Duve）比利時細胞生物學家。諾貝爾生理學或醫學獎獲得者。生於英國薩里郡泰晤士迪頓。1941年獲盧萬天主教大學醫學博士學位。第二次世界大戰爆發後應徵入伍，戰後回到母校轉向生物化學方面學習，1946年獲化學碩士學位。畢業後在斯德哥爾摩的醫學諾貝爾研究院工作。1947年回盧萬天主教大學任教，後成為該校榮譽教授。1962年在美國洛克菲勒研究所任教授。1974年創建了比利時的細胞和分子病理學國際研究所，並任所長。迪韋主要從事對胰島素作用機制的研究。1955年在胰島素等激素對肝臟糖代謝作用的研究中，偶然從鼠肝細胞中分離出一種可進行水解的微粒體。該物質之前被認為是線粒體或分泌顆粒等類，經電鏡觀察發現是種將多種水解酶封閉在膜狀囊內的細胞器，1956年被定名為溶酶體，並研究了這種顆粒在細胞活動中的意義及其與細胞病變的關係。後又發現過氧化物酶體。因發現溶酶體和過氧化物酶體與研究細胞結構和功能的克勞德（A. Claude）、發現核糖核蛋白質的帕拉德（G.E. Palade）共獲1974年諾貝爾生理學或醫學獎。



Christian de Duve
1917 ~ 2013

國籍：比利時
專業：細胞生物學
得獎年份：1974年
獎項：諾貝爾生理學或醫學獎

基因治療：香港與內地攜手共拓的新機遇

在生物科技領域，基因治療作為一種前沿技術，正逐漸改變著疾病的診療格局。從最初的遺傳疾病和惡性腫瘤到神經系統疾病等，基因治療也正在逐步擴大其應用範圍。近日，《BIOTECHGAZINE 生物科技誌》有幸邀請到上海皓元醫藥股份有限公司生命科學事業部總經理王鋒博士，為我們深入剖析基因治療的最新進展，並共同探討這一領域未來發展的廣闊前景與無限潛力。王博士認為，香港與內地政府都十分重視基因治療的發展，在這一過程中，兩地可以實現優勢互補，這是我們攜手共拓的新機遇。以下是本次採訪實錄：



王鋒博士

畢業於西北大學，制藥工程學博士。現任上海皓元醫藥股份有限公司生命科學事業部總經理。王鋒博士擅長有機合成，尤其是多步的複雜分子的構建，熟悉實驗室專案技術管理。曾多次作為專案負責人承擔省部級科研課題，共計發表SCI論文5篇，獲批專利7項。2017年、2019年獲得浦東科技進步獎三等獎。2017年，參加全國示範性勞動競賽「創新達人賽」，榮獲「先進個人」榮譽證書。入選2023年上海市浦東新區明珠領軍人才。

什麼是基因治療，相比於傳統療法，基因療法有哪些優勢？

基因治療是一種醫學技術，旨在通過改變或替換個體細胞中的基因來治療疾病。狹義上的基因療法是指，將正常的或者有治療作用的外源基因插入到靶細胞中，修復靶細胞中有缺陷的基因，或者替代有缺陷的基因，從而達到治療疾病目的的生物醫學技術。目前基因治療的概念有了較大的擴展，廣義上來講，凡是採用分子生物學的方法和原理，在核酸水準上開展的疾病治療方法都可稱為基因治療。由於基因治療針對的是疾病的根本原因——基因進行治療，因此它具有非常強的靶向性，而且，一旦導入正常的基因，可能會產生持久的治療效果。對於某些傳統治療無效的疾病，如某些遺傳病和罕見病，基因治療提供了新的治療選擇。另外，基因治療可以根據患者基因組信息量身制定治療方案，可以提供精確的醫療服務。

基因治療目前主要應用於哪些領域，有哪些成熟的產品？

目前基因治療主要應用於治療遺傳性疾病和癌症，比如治療脊髓性肌萎縮症的 Zolgensma。在治療惡性腫瘤方面，如白血病、淋巴瘤和黑色素瘤，也有多款產品上市，尤其是 CAR-T 細胞療法，像 Kymriah、Yescarta、Tecartus、Breyanzi 等療法，都已經被批准。另外，針對神經系統的阿爾茨海默病和帕金森的療法也正在研究中。

除了這些，在治療心血管疾病的一些產品，如 Cerezyme 和 Elelyso 以及治療愛滋病的 Lenacapavir，雖然不是傳統意義上的基因治療，也涉及基因治療的概念。

基因治療的應用領域正在快速擴展，隨著技術的進步和對疾病機制理解的深入，未來可能會出現更多成熟的產品。各類基因治療產品的成功上市標誌著這一領域的重要進展，給予了許多患者新的希望。

目前基因治療產品的研發或生產主要面臨哪些難點和挑戰，該如何應對？

其實還是有蠻多難點的，我們認為目前基因治療產品在研發和生產過程中面臨的主要難點和挑戰包括：

- 安全性問題：基因治療可能引發免疫反應、非特異性基因插入或其他副作用，導致患者健康風險。在這一方面，我覺得可以加強臨床前和臨床試驗中的安全性評估，開發更為精準的基因傳遞載體（如病毒載體），以減少不良反應的發生。
- 技術複雜性：基因編輯和基因轉導的技術要求高，尤其是在確保效率和準確性方面。這方面，可以採用新興的基因編輯技術，如 CRISPR/Cas9、TALEN 等，以提高靶向精度。也可以進行多學科合作，結合生物工程、計算生物學等領域的知識，優化基因治療方案。
- 生產規模化：將實驗室規模的基因治療技術轉化為工業生產水準，存在技術和成本上的困難。這需要我們建立標準化的生產流程，以提高生產效率和一致性，如通過引入自動化和智能化管理系統，來降低生產成本並提升產量。

另外，基因治療可能還會面臨一些倫理挑戰、成本高等問題，但是我們相信通過科學技術的發展、跨學科合作以及倫理監管的完善，可以逐步克服這些難點。



近年來，政府高度重視基因治療的發展，出臺了一系列的政策，您認為這些政策對細胞治療產業有哪些利好？未來還需要在哪些方面需要政策上的支持？

確實，政府近幾年在政策方面給了基因治療很大的支持。比如給予資金的支持、加速審批流程、加強知識產權的保護、制定了行業的標準以及規範等，這些都有利於細胞治療產業的蓬勃發展。但是，畢竟這一領域才剛剛起步，我們需要政策上進一步的支持，以讓這個產業更好發展。以下幾個方面是我們認為比較重要的：

- 持續資金投入：需要政策繼續加大對基因治療和細胞治療研發投入的支持，包括基礎研究、臨床試驗等階段，從而促進技術的不斷突破。
- 完善倫理法規：隨著基因治療技術的發展，倫理和法律問題愈發複雜。需要建立更加細緻和科學的倫理指導原則，以確保研究和應用的合法性與合規性。
- 擴大應用範圍：需要政策支持基因治療在更多疾病領域的應用開發，尤其是針對一些尚無有效治療方案的罕見病和複雜病症。
- 人才培養：加強對生物醫學領域專業人才的培養，通過教育和培訓計畫，提升整個行業的人才素質和技術水準。
- 公眾教育和科普：加強公眾科普宣傳工作，提高公眾對基因治療和細胞治療的認知度，以及患者對新療法的接受度。
- 加強國際協調：積極參與國際層面的規則討論與協作，從而推動全球基因治療行業的標準化，以確保產品的品質和安全。

在基因治療等方面，內地與香港有怎樣的合作契機？

香港具有很多內地不具有的優勢，而且香港特區政府最近對基因治療等先進療法的重視，為內地與香港之間的合作提供了良好的契機。比如：

- 研發合作方面，一方面內地和香港可以通過聯合研究項目，分享實驗室資源、技術平臺和人才，以推動細胞和基因治療的基礎研究與應用開發。另一方面，香港的研究者和企業可以將其最新的研究成果與內地的產業鏈結合，促進技術的轉化和商業化。
- 臨床試驗方面，可以在內地和香港設立多中心的臨床試驗，利用兩地的患者群體和醫療資源，加速新療法的驗證與批准。另外，雙方可以在患者招募和數據分析方面進行合作，以提升臨床試驗的效率和科學性。
- 監管協作方面，香港在藥品審批和監管方面有獨特的優勢，內地可以借鑒香港的經驗，優化自己的監管政策，以便更快、更安全地引入新療法。同時，雙方還可通過聯合制定共同的品質標準和臨床實踐指南，來提高兩地基因治療和細胞治療產品的品質和安全性。

除了這些以外，我覺得在人才培養、產業發展以及政策協調等方面，內地與香港均有一定的合作機會。通過資源共用、技術交流和政策協調，有望推動這兩個地區在生物醫學領域的共同發展。這是香港和內地共同的機遇。



貴公司在基因治療方面有哪些佈局？您認為未來基因治療的市場將會有怎樣的發展前景？

我們皓元生物總代理的 MedChemExpress (MCE) 是全球領先的生命科學品牌，為科學研究提供優質的生物活性分子和前沿的解決方案。MCE在基因治療方面提供類別多樣且高質量的寡核苷酸相關產品，包括寡核苷酸（反義寡核苷酸，siRNA，miRNA和CpG ODN等）、用於藥物遞送的各類脂質（陽離子脂質，PEG化脂質，磷脂和膽固醇等）、核苷、核苷酸及其類似物。在基因治療的開發過程中，MCE 提供細胞培養基、核酸酶、純化填料、緩衝鹽、GMP 級別小分子、基質膠、轉染試劑以及病毒包裝服務等。

我們相信，基因治療市場發展前景非常廣闊。在未來，隨著基因編輯技術的更加成熟、適用範圍的逐漸擴大、政策和監管環境的不斷優化、公眾認知的加深以及多學科的合作，基因治療的規模會有很大的增長。儘管目前，我們仍面臨著我剛剛提到的一些挑戰，如安全性問題、倫理爭議等，但總體趨勢是樂觀的。基因治療將會在未來的醫療體系中發揮著越來越重要的作用，能為患者提供新的希望。

上海皓元醫藥股份有限公司簡介

上海皓元醫藥股份有限公司（股票代碼：688131）成立於2006年，專注於為全球制藥和生物醫藥行業提供小分子及新分子類型藥物的生命科學試劑的研發，原料藥、中間體、起始物料及製劑的藥物研發，工藝優化及商業化生產。

目前，公司已與多個地區的知名醫藥企業、科研院所、CRO公司建立了深度合作關係，被評為國家級專精特新“小巨人”企業、國家知識產權優勢企業、上海市民營企業總部、2024上海專精特新“小巨人”企業品牌價值榜“百佳企業”、上海市企業技術中心等，榮登“上海硬核科技企業TOP 100榜單”，榮獲“科創板硬科技領軍企業”“中國醫藥CDMO企業20強”、中國科促會“科技創新獎一等獎”等多項榮譽稱號。

新技術——完整基因竟能分開遞送

*文章根據羅切斯特大學官網資訊翻譯
原文[點擊此處查看](#)

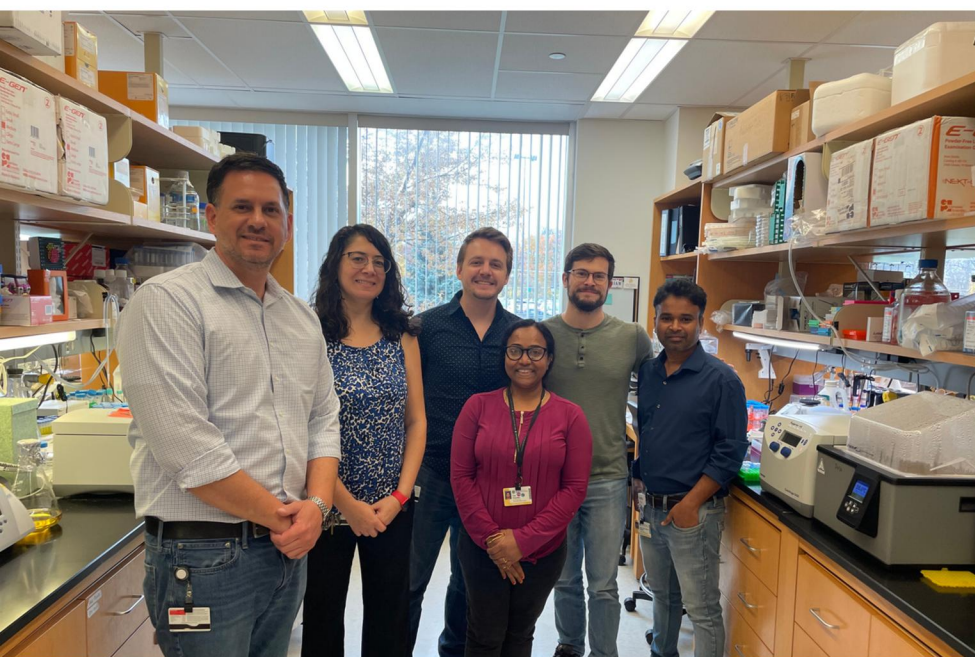
基因治療可以有效地治療各種疾病，但是對於某些疾病，如肌營養不良症，基因治療存在一個非常大的問題——基因的大小。在肌營養不良等疾病中，需要被治療的基因通常非常大，而現有的技術還不能將如此大量的基因運送到體內。近期，一項新的技術——StitchR能夠解決這一問題。這種技術分別將兩個DNA片段運送到體內，而當這些DNA片段進入體內，轉錄成mRNA後，這些mRNA會無縫地連接在一起，從而恢復疾病中缺失或者失活的蛋白表達。

這一研究成果發表在《Science》雜誌上。StitchR的全稱為Stitch RNA，即縫合RNA。在動物模型中，它將兩種不同的肌營養不良症中大型治療性肌肉蛋白的表達恢復到了正常水準。具體而言，在肢帶型肌營養不良症2B/R2型缺乏蛋白質Dysferlin，而在杜氏肌營

養不良中缺乏蛋白質Dystrophin，StitchR可以分別讓這兩種蛋白質的表達得以實現。

杜氏肌營養不良症是最常見的早髮型營養不良症，許多患者在十幾歲的時候就只能通過輪椅行動，而患者一般在二十幾歲就去世了。患有肢帶型肌營養不良症患者的肩部、大腿和臀部肌肉均會出現萎縮，通常難以站立和日常活動。

「基因治療是一種強力的工具，能夠將健康的基因複製傳遞到患者的細胞，來治療遺傳疾病。但是目前由於傳遞基因的載體很小，基因治療無法用於治療由大基因突變引起的一系列疾病」，Douglas M.Anderson博士，論文主要作者，羅切斯特大學醫學和牙科學院（SMD）Aab心血管研究所醫學助理教授說，「我們開發了一種有效的雙載體系統，而不是在單個載體中傳遞完整的基因，其中兩個基因



完成此項研究的Anderson實驗室成員

的一半分別進行傳遞，但是可以在受影響的組織中重新表達完整的mRNA。」

這項技術最初源於幾年前在實驗室中的一次偶然觀察。當兩個獨立的mRNA被核酶（一種小RNA序列）切割時，它們會無縫連接並翻譯成整體的蛋白質。研究小組發現，當核酶切割RNA時，它們會留下可被自然修復途徑識別的末端。

「與使用CRISPR酶切割DNA類似，CRISPR酶只是剪刀，是細胞的天然修復酶將DNA粘在一起。」Anderson說，他也是羅切斯特大學RNA生物學中心的成員，「我們認為，除了RNA，這裏也發生了類似的事情。核酶充當剪刀，細胞的自然修復途徑能夠將兩種RNA連接在一起。值得注意的是，兩個獨立的mRNAs能夠找到對方，而且這個過程非常有效。」

該實驗室優化了這一過程的效率，比最初的實驗提高了900倍以上，並將這一技術應用到基因遞送中。他們將一個大的治療基因的兩半編碼到腺相關病毒（AAV）載體中（腺相關病毒載體是基因治療中最常用的載體，它們能夠將基因運送至體內，而不會引起疾病）核酶切割mRNA的末端，然後它們連接起來，形成一個單一的無縫mRNA，能夠在所需的組織中產生蛋白質。包括共同第一作者Sean Lindley（他最近從安德森實驗室獲得了博士學位）在內的研究小組發現，拼接的mRNAs似乎與其天然全長對應物的行為方式基本相同，有效地將遺傳信息翻譯成功能蛋白質。

StitchR活性所必需的自切割核酶天然存在於動物界，由不同的家族組成，表現出不同的切割活性。在測試了許多核酶家族和序列後，他們最終確定了一種導致高水準蛋白質生產的配方，並接近僅由單一載體表達的基因所達到的水準。

「Doug極具創造力並注重細節，事實上，他發現了兩個不同的mRNA片段如何在細胞中找到對方，並無縫連接起來，創造出一個

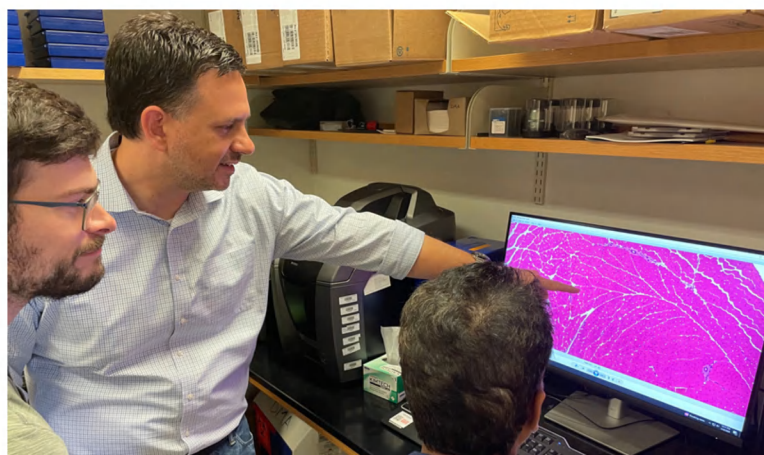
功能性的mRNA，這真的很令人興奮」，Lynne E.Maquat博士（羅切斯特大學RNA生物學中心主任）說，「這個概念聽起來很簡單，但這需要大量的實驗工作來優化所涉及的分子，確保它們在細胞中穩定，並盡可能提高過程的效率。」

根據Anderson的說法，StitchR可以與許多不同類型的載體相結合，用於在細胞中傳遞或表達基因，並且它似乎可以有效地與任何mRNA序列一起工作，這為其在廣泛的疾病中的應用打開了大門。「StitchR在這一點上真是即插即用。StitchR的序列要求非常低，我們現在已經用許多不同的基因和序列對此進行了測試」，他說。

這項技術的另一個特點是只產生全長蛋白質。「其他雙載體方法已經發展了幾十年，但一直受到效率低下和生產長度不足的困擾。因為StitchR發生在RNA水準，我們可以控制並確保只有全長蛋白產物被製造出來。這將StitchR與其他雙載體技術區分開來，例如內含肽，一種蛋白質連接技術，它可能是有效的，但會表達較小的蛋白質片段，這可能在細胞中具有未知的作用。」Anderson補充道。

「從最初的研究觀察到治療應用是一個漫長但令人滿意的過程，這一直是我們實驗室的主要目標，我認為這也是對基礎研究的承諾。借助StitchR和其他工具，我們正致力於治療那些令人虛弱的遺傳疾病，其中許多疾病目前沒有治療方法或治癒方法。」Anderson說。

該實驗室目前正在與其他研究實驗室建立合作關係，來生成StitchR載體，以治療由大基因引起的數千種疾病。



香港生物科技協會(HKBIO)一直致力為香港生物技術產業建立和促進一個全球平台、提高認識，以及鼓勵並促進國際合作。現成為HKBIO會員便可獲得品牌建立建議，並在業內拓展人際網絡，從而獲得更高的認可。此外，會員參加由HKBIO舉辦之活動更可享會員專屬優惠折扣。詳情請參閱本會網址 www.hkbio.org.hk，或電郵至 editorial@hkbio.org.hk 查詢。

如有興趣加入成為HKBIO會員，可於網上進行登記，或掃描以下QR Code，填妥表格後交回給HKBIO。

表格網址：www.hkbio.org.hk/index.php/en/membership



本會將會在2025年9月10日 - 13日舉辦香港生物科技論壇暨展覽BIOHK2025。屆時，我們將精心組織一系列高水準的演講嘉賓，在全球範圍內宣傳香港生物科技產業的發展。論壇內容將涵蓋學術交流、專業研討會，以及一對一商機對接等環節，匯聚全球生物科技、製藥及金融領域的頂尖領袖，為業界精英搭建一個交流合作、共謀發展的黃金平台。BIOHK希望推動內地，包括大灣區的生物科技產業走向國際，並吸引全球生物科技行業的目光聚焦香港，進而拓展至內地及東南亞市場。我們相信，BIOHK將成為香港高科技及大健康領域的一個重要國際盛會。

征稿通知

《BIOTECHGAZINE 生物科技志》致力於傳播生物最新政策、前沿進展、行業信息等訊息。為進一步豐富雜誌內容，提升雜誌品質，現面向廣大生物科技領域的從業者及相關人士徵集優秀稿件，具體事項如下：

稿件主題

與生物科技相關主題的文章，包括但不限於：

- 研究進展：最新研究發現、理論技術創新、重大突破等。
- 政策法規：生物科技倫理、生物安全、生物法規等。
- 行業信息：生物科技行業趨勢、投融信息息、藥械審批、研發佈局等。
- 知識科普：與生物科技相關的科普。
- 觀點評論：針對生物科技的事件、現象等進行評論。

稿件要求

- 稿件內容要求原創，具有一定的價值和意義，文章結構嚴謹，論述清晰，不可抄襲；
- 不接受學術論文；
- 稿件字數控制在1500字~4000字；
- 文章語言為中文，簡體繁體均可，請使用word格式投稿；
- 投稿時請附上作者簡介、單位、通訊地址、聯繫電話及電子郵箱。

投稿方式

請將稿件發送至編輯部郵箱：editorial@hkbio.org.hk，郵件主題請注明「投稿+論文標題」。

審稿流程

稿件收到後編輯部將對稿件進行審核，對符合發表要求的稿件我們會進行郵件通知。審稿週期為1個月，逾期未收到回復，作者可自行處理稿件。

歡迎廣大生物科技領域從業者及相關人士踴躍投稿，共同為我國生物科技事業的發展貢獻力量。《BIOTECHGAZINE 生物科技志》期待您的佳作！如有疑問，請隨時與我們聯繫。聯繫方式：editorial@hkbio.org.hk

About HKBIO

Hong Kong Biotechnology Organization is an independent nonprofit organization (Charities exempted from tax under Section 88 of the Inland Revenue Ordinance) with the goal to promote best practice, raise awareness across the biotechnology industry while providing added value benefits to its members, whether they are students, researchers, entrepreneurs, industry bodies, public or private sector representatives.

香港生物科技協會是一個獨立的非營利組織（根據《稅務條例》第 88 條獲豁免繳稅的慈善機構），其宗旨是在生物科技行業中推廣最佳實踐，促進生物科技的發展。鼓勵並促成國際間的合作，同時為其成員（無論是學生，研究人員，企業家，行業團體，公共部門還是私營部門的代表）提供專業的觀點與技術建議。

Donor's Information 捐助者資料

Name 姓名: _____

Telephone 聯絡電話: _____

Company 公司: _____

E-mail 電郵: _____

Address 地址: _____

Donation Amount 捐款金額

- HKD500 HKD1, 000
 HKD2, 500 HKD5, 000
 HKD10, 000 HKD50, 000
 HKD_____

Find Out More About Us 了解我們

HKBIO: <https://www.hkbio.org.hk>

Email: editorial@hkbio.org.hk

Telephone: +852 2799 7688

Donation Method 方法

Bank Transfer

1. Local transfer (within Hong Kong)

Beneficiary Bank Name: The Hong Kong and Shanghai Banking Corporation Limited

Beneficiary Bank Code: 004

Beneficiary Name: Hong Kong Biotechnology Organization

Account Number: 411-753510-838

2. Overseas transfer (Including mainland China)

Beneficiary Bank Name: The Hong Kong and Shanghai Banking Corporation Limited

Beneficiary Bank Code: 004

Beneficiary Name: Hong Kong Biotechnology Organization

Account Number: 411-753510-838

Bank Address: 1 Queen's Road Central, Hong Kong SAR

Swift Code: HSBCHKHCHK

Please email a copy of the payment slip along with donation information to:

editorial@hkbio.org.hk

請直接存入本機構的匯豐銀行戶口:

411-753510-838, 連同表格和銀行存款單電至:
editorial@hkbio.org.hk

Cheque by post

Please make crossed cheque payable to "Hong Kong Biotechnology Organization" and post to:

Unit 15-18, 16/F, South Wing Delta House

No. 3 On Yiu Street, Shatin, N.T. Hong Kong

支票抬頭請填寫「Hong Kong Biotechnology Organization」連同表格寄至香港新界沙田石門安耀街3號匯達大廈1615-18室

Thank you for your generous support!

感謝你的慷慨支持!

The above information will be used to issue you with a Hong Kong tax-deductible receipt (for donations HKD100 or above), which will be posted to the address provided. 以上捐助者資料可會用於香港申請可慈善款稅項扣減收(只限捐款港幣100元正或以上)。捐款收條會以郵寄形式寄回。Redress will add you to our mailing list to keep you updated on our impactful work. Please tick this box if you wish to opt out. Redress 將把閣下加入通訊錄以更新本機構最新消息, 如閣下不欲被列入通訊錄內, 請在空格內 For any enquiries, please contact 如有任何疑問, 請聯絡 editorial@hkbio.org.hk or call + 852 2799 7688.

Address 地址:
Unit 15-18, 16/F
South Wing Delta House
No. 3 On Yiu Street, Shatin
N.T. Hong Kong
香港新界沙田石門安耀街3號
匯達大廈1615-18室
Email 電郵: editorial@hkbio.org.hk
Telephone 電話: (+852) 2799 7688