

apophysis / November 28, 2011 10:06AM

[\[幹細胞\] 中研院成功首度製造出誘導式人類全能性幹細胞 大幅助益龐貝氏症研究](#)

[幹細胞] 中研院成功首度製造出誘導式人類全能性幹細胞 大幅助益龐貝氏症研究 ([英文版](#))

《中研院新聞稿》(2011/11/28) 中研院細胞與個體生物學研究所與基因體研究中心郭紘志博士實驗室，最近成功地自臺灣龐貝氏症病人的皮膚細胞，建立了全世界第一個「誘導式龐貝氏症人類全能性幹細胞」(PomD-iPSCs)，這些細胞具有全能發育的能力。這個優異的研究模型，未來對於探討龐貝氏症的致病機轉、藥物篩選、確認疾病標誌以及藥物研發，助益甚大。國際領導期刊《人類分子遺傳 (Human Molecular Genetics) 》已於2011年9月28日優先於網路刊登此項重要成果。

龐貝氏症是一種罕見的遺傳疾病，由於患者「酸性α葡萄糖苷酶(GAA)」基因產生突變，以致細胞無法分解肝醣，導致肌肉無力、心臟擴大等病症。不施以藥物治療，多數早發型患者會於出生後1-2年內死亡。由於從病患細胞獲得適當的研究標本十分困難，導致發展高效能的治療方法變得更加艱鉅。

研究團隊表示，全能性幹細胞是非常獨特的人體細胞，它具有「全功能分化性(pluripotency)」的特點，可以分化成為人體各種不同類型的細胞。而所謂的「誘導式全能性幹細胞(iPS Cell)」則是一種人造的全能性幹細胞。這種人造的全能性幹細胞可自任何個體的體細胞經再程序化(reprogramming)之過程產生，並保留個體的遺傳基因、以及疾病等等特徵。不過，相較於正常發育的細胞，想要從帶有嚴重生理缺陷的體細胞(例如早發型龐貝氏症)，順利製造出iPSCs，其挑戰性更大。

此次，郭博士研究團隊利用一種名為「基因救援」的全新策略，建立了「誘導式龐貝氏症人類全能性幹細胞(PomD-iPSCs)」，此幹細胞具有全功能分化的特點。同時，研究團隊還進一步證明PomD-iPSCs能分化為心肌細胞，並且這些心肌細胞能表現出多種龐貝氏症的疾病病理特徵；研究也顯示由PomD-iPSCs所衍生出之心肌細胞之主要病理現象，可藉由不同藥物的處理進行回轉。同時經由PomD-iPSC平台之篩選，研究團隊亦找出多種可有效偵測龐貝氏症藥物治療效果之基因標誌。研究團隊證實，此新創的PomD-iPSCs對探討龐貝氏症致病機轉、藥物篩選、確認疾病標誌，甚至研發藥物，皆提供最佳研究模型。

論文參考網站：

<http://hmg.oxfordjournals.org/content/early/2011/09/28/hmg.ddd424.full>

媒體聯繫方式：

郭紘志博士，中央研究院細胞與個體生物學研究所研究助技師

(Tel) +886-2-2789- 9580分機201

林美惠，中央研究院總辦事處公共事務組mhlin313@gate.sinica.edu.tw

(Tel) +886-2-2789-8821 (Fax) +886-2-2782-1551 (M)0921-845-234

黃復君，中央研究院總辦事處公共事務組pearlhuang@gate.sinica.edu.tw

(Tel) +886-2-2789-8820 (Fax) +886-2-2782-1551 (M)0912-831-188

深入資訊：

[中研院新聞稿 2011/11/28](#)

[National Science Council International Cooperation Sci-Tech Newsbrief](#)
