



作者：
Jay Jacobs, 特許金融分析師

日期：2019年4月9日

主題：人口和人口結構、科技



GLOBAL X ETFs RESEARCH

基因組學背後的科學是什麼？

2019年4月9日，我們促使Global X Genomics & Biotechnology ETF (GNOM)在納斯達克上市。這篇博客文章是由兩部分組成的系列文章中的第二篇，探討基因組學對醫療保健和醫學的顛覆性影響。系列文章的第一篇主要講述支持基因組學作為強大主題崛起的催化因素，欲閱讀第一篇，請單擊[此處](#)。

基因組學領域中有幾個細分市場將受益於基因檢測成本下降、精密醫學的興起、基因數據量的不斷增長，以及推動基因組學顛覆醫療保健市場的其他趨勢。這篇文章深入探討帶動這個迅速崛起的行業增長的特定技術和科學實務，包括：

- 基因組測序
- 計算基因組學和基因診斷
- 基因藥物和療法的開發和測試
- 基因編輯
- 生物技術

基因組測序：確定一個人DNA確切順序的流程。據估計，全球DNA測序市場在2017年價值62億美元，並且預計在2025年將達到255億美元，年均複合增長率（CAGR）達19%。¹目前有三種常見的測序類型：SNP基因分型、全外顯子組測序（WES）和全基因組測序（WGS）。

表格：基因測序類型²

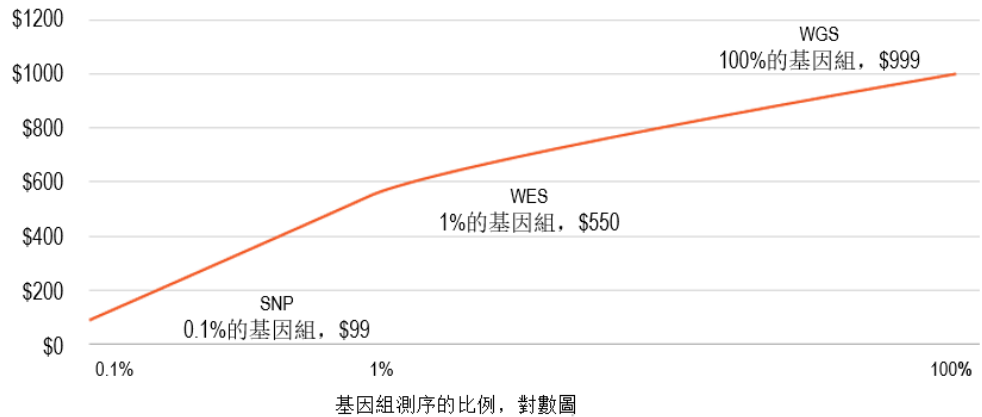
| 技術 | 說明 |
|--------------|--|
| SNP 基因分型 | 測量單核苷酸多態性（SNP），這是最常見的基因變異類型，揭示約 0.1%的基因組。 |
| 全外顯子組測序（WES） | 確定基因組蛋白質編碼區域（也稱為外顯子組）中核苷酸的確切順序，僅代表整個基因組的 1-2%。 |
| 全基因組測序（WGS） | 確定整個 DNA 核苷酸的確切順序或大約 30 億個鹼基對。 |

透過對一小部分但重要的DNA進行測序，SNP基因分型以較低的成本檢查常見的基因變異。因此，23andMe等備受歡迎的基因檢測公司都使用SNP基因分型。類似地，透過專注於蛋白質編碼區域，WES分析關鍵的基因表達通路，而毋需對整個基因組進行編碼。畢竟，現代人與黑猩猩共享多達99%的DNA，這意味著為每個人繪製整個基因組可能不是最有效的方法。³



WGS提供最全面的見解，雖然費用通常比SNP基因分型高10倍，但是多重操作（即同時分析數百萬個DNA切片）等新實務正在使WGS變得比以往更便宜、更高效。新的袖珍機械亦使醫生和科學家能夠在現場實時進行測序，從而快速取得可行的見解。但是，不論採用哪種方法，消費者和醫療保健行業參與者均在推動測序需求，以期找到新的方法促進更加長壽和健康的生活。⁴

按基因組測序的比例計算的平均測序成本^{5,6,7} (平均美元成本)



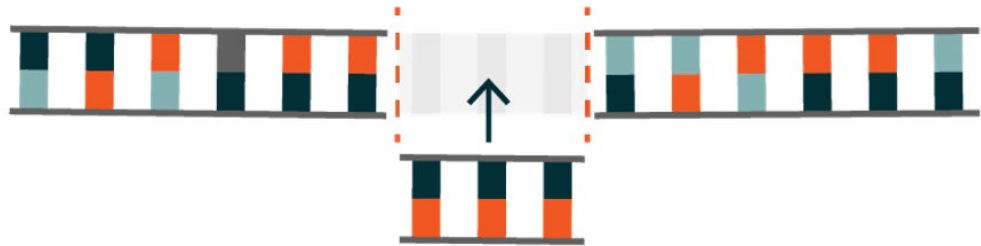
計算基因組學和基因診斷學：使用計算和統計分析從基因組序列和相關數據中破譯生物學的意義。到2024年，全球計算生物學市場價值預計將從目前的23億美元增長至68億美元，年均複合增長率為19.5%。⁸計算基因組學的主要好處是更加深入地瞭解基因表達、蛋白質信號通路及其在複雜疾病（例如糖尿病、心血管疾病、阿爾茨海默氏病和癌症）中扮演的角色。隨著基因數據量的增加、數據共享及統計模型可靠性和有效性的提高，計算基因組學有助於確定新的治療切入點及增進對個別風險因素的了解。例如，研究人員「放任」機器根據患者數據學習算法和神經網絡，以識別成癮或癡呆的根本原因，或確定哪些基因或基因組合助長疾病的發展。除了專注於人類，基因分析亦對農業、食品和飲料等其他行業產生重大影響。例如，在農業中，計算基因組學可以改善作物多樣性及對氣候變化和其他環境壓力的抵抗力。餐廳甚至可能有一天會根據您的「口味」基因開始自定義用餐體驗。



基因藥物和療法的開發和測試：尋求透過識別及/或修改生物體的基因表達或功能以檢測、治愈或治療疾病。基因表達在此處是一個重要的概念，因為它描述DNA決定我們生物學功能的過程，並且通常透過蛋白質信號

通路實現這一點。例如，基因治療的一個目標可能是透過製造阻礙某些部分基因表達通路的適當「阻斷劑」，以使基因突變失活。另一種類型可能會添加功能性基因以補償缺陷基因或生成急需的蛋白質。FDA已經批准數個基因療法，其中首個療法是2017年用於治療基因性失明的LUXTARNA。基因療法通常透過骨髓移植進行。據估計，基因治療市場將從2016年的5.84億美元增長至2023年的44億美元，年均複合增長率達到驚人的33.3%。⁹

基因編輯：在生物體基因組的特定位點插入、刪除或替換DNA。雖然基因編輯通常被歸類為基因治療的延伸，但是基因編輯側重於直接改變個人患病部位的DNA，而基因療法可能會使用影響基因表達通路的治療方案，而不會改變DNA。鑒於疾病基因驅動因素的多樣性，兩種解決方案應相輔相成。基因編輯領域許多激動人心的發展都與CRISPR-Cas9技術相關，該技術使科學家可以取得特定部位的開放DNA切片或在不改變整個鏈的情況下逐一替換單個DNA單元。CRISPR-Cas9編輯被視為有潛力解決由單個基因引起的50,000多種基因疾病中的三分之二。¹⁰基因編輯的其他方法涉及另一種稱為鋅指核酸酶（ZFN）的酶。雖然兩種方法都有風險，例如在意外位置引起突變，但是基因編輯方法正在不斷改善。¹¹西方國家的第一項人類CRISPR試驗於2019年初開始，以解決罕見的血液疾病β地中海貧血。預計今年將在美國和歐洲針對鐮狀細胞性貧血等其他疾病開始類似的試驗。整個醫療保健行業將對此密切關注，以從該等早期臨床試驗結果中學習，並且了解它們如何可能增加治療基因疾病患者的機會。據估計，基因編輯市場規模將從2017年的30億美元增長至2024年的75億美元，年均複合增長率為14.5%。¹²倘若臨床試驗測試的療法取得正面結果及獲得監管部門批准，則該數字有望顯著增長。



生物技術：鑒於基因在人類生物學中的基礎作用，其與生物技術行業的其他範疇存在很多協同機會。例如，幹細胞研究和再生醫學加上基因組學的進步，將有助於提高組織和器官移植的有效性。透過配合端粒研究，該等工作亦將會增進我們對衰老的理解。在任何情況下，基因組學公司均可能與眾多外部合作夥伴一起在廣泛的生物技術生態系統中運營，以開展最佳的研究、發明最具創新性的療法及開創個人化醫學紀元。

基因組學和精密醫學的興起有望從根本上改變人們對醫療保健的理解和提供方式。人類生物學與大數據、進階分析和可擴展計算能力的快速融合將提供前所未有的見解，窺探各種疾病如何影響人類以及更重要的課題——如何預防疾病。從使用新療法至改變我們自身的DNA，基因組學在醫療保健變革方面具有深遠的潛力，並且帶來具吸引力的主題投資機會。

1. Allied Market Research, "DNA Sequencing Market: Opportunities and Forecasts, 2018-2025," Dec 2018.

2. Elysium Health, "The Non-Scientist's Guide to Genetic Testing," May 22, 2018.
3. Scientific American, "Tiny Genetic Differences between Humans and Other Primates Pervade the Genome," Sep 1, 2014.
4. Elysium Health, "The Non-Scientist's Guide to Genetic Testing," May 22, 2018.
5. Nature, "Are whole-exome and whole-genome sequencing approaches cost effective? A systematic review of the literature," 2018.
6. Genohub, "Whole Genome Sequencing (WGS) vs. Whole Exome Sequencing (WES)," Feb 21, 2015.
7. Veritas Genetics, "myGenome," 2019.
8. Mordor Intelligence, "Computational Biology Market – Growth, Trends, and Forecasts (2019-2024)," Feb 2019.
9. Allied Market Research, "Gene Therapy Market," Feb 2018.
10. WIRED, "Gene Editing is Trickier Than Expected—but Fixes Are in Sight," Feb 28, 2019.
11. Ibid.
12. Global Market Insights, "Global Gene Editing Market," Jan 2019.

また、一般的に投資には元本が毀損する可能性などのリスクが伴います。投資の決定を行う際には、意識的に企業ガイドラインを持つ証券のみを検討します。

投資涉及風險・包括可能損失本金。從事基因組學、醫療保健及生物技術領域的公司或會受到政府法規、產品快速淘汰、激烈的行業競爭以及專利或知識產權損失或損害的影響。國際投資可能會涉及因貨幣價值的不利波動、一般公認會計原則的差異或其他國家的社會、經濟或政治不穩定而帶來資本損失的風險。

