

肌萎縮性脊髓側索硬化症相關性TDP-43突變基因的嵌入小鼠模式

本院覽號

13A-1070315

公告日期

2023-08-02

智財權狀態

美國臨時案已申請、美國US 11582957 B2已獲證

摘要

本發明首次利用同源嵌入策略，進行深入解析ALS-TDP發病的起始和緩慢惡化的關鍵作用與分子機制。此類老鼠模式，最類似漸凍人症在人類中發病的型態，而且先前沒有類似的報導，因此是ALS疾病研究領域的一個嶄新里程碑；又，本發明中N390D與A315T致病結果的大不同，也證明了遺傳背景和環境因子的重要性，後一類的同源嵌入型的TDP-43變異老鼠模式，並可用於鑑定及篩選會引起漸凍人症的環境因子及遺傳背景。

技術優勢

目前並無任何有效藥物可用以防止或治療漸凍人症，本發明所描述的獨特漸凍人症老鼠模式，在研發有效的漸凍人症治療上，包括藥物治療，細胞療法及免疫療法等，皆是目前可見的將來，最現想的一個醫藥工具。

應用範圍

在研發有效的漸凍人症治療上，包括藥物治療，細胞療法及免疫療法等，皆是目前可見的將來，最現想的一個醫藥工具。

創作人

沈哲鯤、黃士玲



中央研究院
ACADEMIA SINICA