

# 一種治療結節性硬化症的化合物

## 本院覽號

12A-1110916

## 公告日期

2024-07-15

## 智財權狀態

美國臨時案已申請、PCT已申請、台灣(發明)已申請

## 摘要

結節性硬化症(Tuberous Sclerosis Complex ; TSC)是一種遺傳性疾病，主要成因為TSC1或TSC2基因突變導致其下游蛋白mTOR過度活化所導致，臨床上近90%的TSC患者會發生癲癇。除了癲癇之外，有相當高比例的患者同時伴隨著自閉、睡眠、焦慮等行為與精神的臨床表徵。我們發現新藥物標的，在藥物誘發癲癇之下可以降低癲癇發作，相較於臨床藥物Vigabatrin (VGB)，此藥物標的較沒有副作用，也能回復結節性硬化症小鼠腦部微結構的改變並改善其認知記憶缺失與焦慮的行為。我們更進一步地利用會產生自發性癲癇的小鼠模型，發現新藥物標的能降低嚴重癲癇後死亡的比例。希望此新藥物標的能為結節性硬化症患者帶來新的治療機會

## 創作人

陳儀莊、李宜釗、陳右穎、方俊民

## 技術優勢

- 新的治療機會

## 應用範圍

- 結節性硬化症相關神經精神障礙的藥物
- 結節性硬化症睡眠障礙的藥物
- 結節性硬化症癲癇的藥物
- 其他癲癇的藥物



中央研究院  
ACADEMIA SINICA