

以微型核糖核酸治療運動神經元退化疾病

本院覽號

13A-1061220

公告日期

2024-07-15

智財權狀態

美國臨時案已申請、台灣(發明)I 818006已獲證、PCT已申請、美國已申請、歐盟已申請、中國放棄申請、歐盟已申請

摘要

本發明提供了一種治療運動神經元退化疾病的新方法。其方法包括利用重組腺相關病毒 (scAAV9) 為載體，將一個或數個微型核糖核酸(miRNA)之基因送至受施者的中樞神經系統，用以治療，延緩或改善運動神經元相關退化疾病。

技術優勢

- 一些研究已利用微型核糖核酸(miRNA)療法，在SOD1G93A ALS小鼠的中樞神經系統施予標靶SOD1基因的miRNA，來降低運動神經元中的突變SOD1毒性，並可延長 ALS小鼠的壽命約9~20天。但這種策略只適用於少數遺傳性ALS患者。
- 本發明可延長 ALS小鼠的壽命約20天，與上述療法成效相當，但是我們所施予的miRNA可以啟動運動神經元本身的保護機制，因此俱有廣泛運用在所有ALS，甚至SMA這些運動神經退化疾病患者上，在臨床上極具潛力中。

應用範圍

本發明用以治療，延緩或改善運動神經元相關退化疾病，包括肌萎性脊髓索硬化症(ALS)與脊髓性肌肉萎縮症(SMA)。

創作人

陳俊安



中央研究院
ACADEMIA SINICA