

# 微型核糖核酸MiR34對脊髓性肌肉萎縮症的全方位病理調控之重要角色

## 本院覽號

13A-1110210

## 公告日期

2024-08-21

## 智財權狀態

美國臨時案已申請、台灣(發明)已申請、PCT已申請

## 摘要

脊髓性肌肉萎縮症 (SMA) 是體隱性遺傳疾病，導因於脊髓運動神經元 (MN) 的漸進性死亡。雖然反義寡核苷酸對SMA是一種很重要的治療藥物，然而此種治療方式使用侵入性且需要反覆性的脊髓鞘內注射，再加上治療效果的異質性，讓此種治療方式的施行仍然具有相當高的挑戰性。我們發現一種微型核糖核酸MiR34a可能作為SMA在反義寡核苷酸治療後效果預測的生物標誌物，並證明MiR34a在腦脊液的表現量和SMA的疾病進程具有負相關性的趨勢。另外，我們發現MiR34 基因剔除小鼠在許多程度上重現了 SMA 的小鼠病理表型，說明 MiR34a 可能參與了 SMA 發病機制。我們相信此研究提供了關於SMA致病 機制的關鍵信息，並為未來 SMA 治療效果的臨床評估提供了重要預後線索。

## 技術優勢

- 先進的檢測方法為循環 miRNA 作為疾病生物標誌物提供了更高的靈敏度和精確度。
- miRNA (MiR-34) 的變量化可於可取得的人體生物體液中相對穩定地檢測到—例如腦脊液、血清/血漿、唾液和尿液。
- MiR-34 可以同時檢測不同組織中的變化程度，用以監測SMA病患的治療反應。

## 應用範圍

- 預後生物標誌物，提供 SMA 患者疾病演變和自然病程的預測資訊。
- 用於評估新療法於 SMA 患者治療反應的預測性生物標誌物
- 用於監測 SMA 藥物開發和臨床試驗中療效和替代終點的藥效生物標誌物
- 潛能用於SMA治療標的，增強 MiR-34a 或可緩解 SMA 的嚴重程度

## 創作人

陳俊安、鐘育志



中央研究院  
ACADEMIA SINICA