

利用再編成誘導式幹細胞對漸凍症模擬揭示了LncRNA NEAT1在TDP 43相關疾病病理學中的潛在作用

本院覽號

10A-1070301

公告日期

2019-08-03

智財權狀態

美國臨時案已申請、美國US 11,357,788 B2已獲證、台灣(發明)I729363已獲證

摘要

降低運動神經元中非轉譯RNA-NEAT1的表現量，可以延緩運動神經元中的TDP43不正常折疊與其造成的運動神經元死亡。因此，減少運動神經元中的非轉譯RNA-NEAT1可當作漸凍症新藥發展的研究方向與目標。

技術優勢

藉由基因修改及病人的多元誘導性幹細胞得到的運動神經元，降低非轉譯RNA-NEAT1的治療方式，是更精確也貼近漸凍症病人的細胞模擬系統。可解決現在動物模式藥物發展的窘境，減少未來進行人體試驗因系統不一致造成的失敗，可節省時間財力的損失。

應用範圍

降低運動神經元中非轉譯RNA-NEAT1的表現量，可適用於漸凍症藥物開發，我們所建立的細胞株也可作為漸凍症藥物篩選平台，未來可能當做細胞治療的來源。此外，我們的研究可能提供作為其他TDP43相關神經退行性疾病包括阿茲海默病和TDP43相關額顳葉癡呆的治療。最終，我們平台的設計流程將適用於其他遺傳性的神經退化性疾病和其藥物開發。

創作人

郭紘志、吳逸盈



中央研究院
ACADEMIA SINICA