

治療神經發展性疾病

本院覽號

12A-1050118

公告日期

智財權狀態

美國臨時案已申請、台灣(發明)I601821放棄維護、美國放棄申請

摘要

雷特氏症患者是由於MeCP2蛋白的基因突變所造成，患者有嚴重的神經及行為缺陷。本發明首度發現多數與此疾病相關的突變都有MeCP2蛋白類小泛素化減少的現象，而以雷特氏症小鼠為模式，本發明證明若增強MeCP2蛋白的類小泛素化可以挽救這些缺陷。

技術優勢

本發明的優點是確認了雷特氏症患者一個嶄新的分子生物機制，並可藉由對MeCP2蛋白類小泛素化的影響來篩選一些新的具有潛能療效的藥物。目前雖然已有少數可以改善此疾病的分子，但是它們都不能通過腦血管障壁，此發明可以篩選一些會增加MeCP2蛋白類小泛素化且容易通過腦血管障壁分子，再進一步檢測其是否可以改善雷特氏症小鼠的神經及行為缺陷，進而可能用於治療人類的患者。

應用範圍

本發明發現雷特氏症基因缺陷小鼠在MeCP2蛋白Lysine 412位置的類小泛素化明顯減少，若以病毒轉染技術增加此位置的類小泛素化程度則可挽救其神經及行為缺陷。依據此結果未來的可能應用範圍有二，第一是開發MeCP2 Lysine 412位置的專一性抗體，期望以MeCP2在此位置類小泛素化程度的改變(增加)來篩選一些可以減緩雷特氏症症狀的新藥物。第二是對目前已在使用的藥物，檢測其對MeCP2蛋白類小泛素化的影響程度，並以此為一標地，做為其療效的參考。

創作人

李小媛、戴瑞徵、劉彥呈、徐偉倫



中央研究院
ACADEMIA SINICA