

# 藥物誘發胎兒血紅素治 鐮刀型貧血和地中海型貧血

## 本院覽號

13A-1080116

## 公告日期

2020-11-02

## 智財權狀態

美國臨時案已申請、PCT已申請、美國已申請、歐盟已申請、中國已申請、印度524578已獲證

## 摘要

以藥物誘發胎兒血紅素(HbF)的表現能有效地治療B型地中海型貧血與鐮刀型貧血症 (SCD)這兩種著名的血液疾病，是極具發展潛力的治療方式。目前已發現數種化合物可以有效誘發HbF的生成，包括Trichostatin A (TSA)、 Apicidin、 Sodium Butyrate (NaB)、 5'-aza-Cytidine以及hydroxyurea (HU)，其中HU為美國唯一核准上市，用以治療鐮刀型貧血症的胎兒血紅素誘發藥物。然而，約有25%病患對HU並不反應，且此藥物具有骨髓毒性及可能導致不孕。因此，研發其取代藥物有其必要性。Compound X為一種新的口服劑型藥物，能有效誘導HbF的表現，在SCD疾病小鼠中也可有效的減低疾病症狀。Compound X與其結構類似物皆顯示其有潛力與優勢可發展成新一代用於治療 $\beta$ 型地中海型貧血與鐮刀型貧血症等病患的醫療用藥。

## 技術優勢

本發明提供新穎的口服化合物及其衍生物作為治療地中海型貧血與鐮刀型血球貧血症之用。

## 應用範圍

生技醫藥，用於治療重症B型地中海型貧血與鐮刀型血球貧血症等病患。

## 創作人

沈哲鯤、蔣維棠



中央研究院  
ACADEMIA SINICA