

開發針對 α -半乳糖水解酶之小分子活性促進劑以利用於法布瑞氏症

本院覽號

28A-1040918

公告日期

智財權狀態

美國臨時案已申請、PCT已申請、台灣(發明)I636039已獲證、歐盟已申請、中國已申請、美國US 10995067 B2已獲證

摘要

法布瑞氏症為一種遺傳性溶小體代謝異常的疾病，目前已知有超過三百多種在GLA基因上的錯義突變會導致此疾病。溶小體 α -半乳糖水解酶(α -Gal)的活性不足會導致中性醣鞘脂在細胞中累積，並使病人產生慢性神經疼痛，腸胃不適，血管角質瘤，擴張型心肌病等症狀。經由天然多醣化吡咯的啟發，我們發展出數種合成分子可以當作伴護分子幫助 α -Gal正確摺疊或著當作穩定劑以增進酵素置換療法(ERT)的效果。

技術優勢

相較於目前已知在進行臨床三期的分子(DGJ)，有些我們的小分子對於法布瑞氏症的突變細胞株表現出更好的效價或著更好的持續性。

應用範圍

GlobalData的研究，由於醫生的狀態意識增強和診斷速率增加，全球法布瑞氏症的治療市場價值預期將由2014年的6.8億美元擴增至2024年的12.5億美元。我們的發明對於治療法布瑞氏症有潛在的應用性：

1. 發展出新的伴護分子來幫助蛋白質正確摺疊，用來治療溶小體儲積症，特別是法布瑞氏症。
2. 發展可以增進酵素置換療法(ERT)效果的小分子。

創作人

鄭偉杰



中央研究院
ACADEMIA SINICA