

# 研發小分子為酵素穩定劑以利治療龐貝氏症

## 本院覽號

28A-1080424

## 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)I 759888已獲證、美國已申請、中國已申請、歐盟已申請、日本放棄申請

## 摘要

在這項工作中，我們巧妙地應用了我們特有和獨特的小分子庫，該庫由先前天然產物啟發的組合化學方法開發，並用於進行酸性 $\alpha$ -葡萄糖苷酶酶的穩定性評估。出乎意料的是，我們發現一些小分子能夠穩定標的蛋白質。經過系統性的修飾和生物活性評估後，開發了先進的化合物，可以選擇性穩定酵素或細胞溶酶體中的酸性 $\alpha$ -葡萄糖苷酶。此外，我們的數據顯示該化合物可以在向龐貝細胞系遞送藥物期間穩定外源性 $\alpha$ -葡萄糖苷酶。該化合物將可以減少蛋白質藥物在酶替代療法中對龐貝氏症治療的使用，以大幅降低成本及減低病人副作用之風險。

## 創作人

鄭偉杰、李皇毅、胡務亮、簡穎秀、李妮鍾

## 技術優勢

- 易於配製且無毒
- 比目前已知的小分子有更好的效果和活性
- 這種小分子可以穩定目前的蛋白質藥物，從而降低目前對龐貝氏症的酵素替代療法

## 應用範圍

- 用於治療龐貝氏症，一種溶酶體貯積病。
- 選擇性小分子可以穩定 $\alpha$ -葡萄糖苷酶。



中央研究院  
ACADEMIA SINICA