



研發小分子為酵素穩定劑以利治療龐貝氏症

提案人： 胡務亮 教授
單位： 國立臺灣大學 小兒科系
簡歷： 台大醫學院小兒科教授

市場及需求：

在 2019 年至 2030 年的預測期內，全球龐貝病治療市場預計將實現 3.0% 的複合年增長率，2018 年的市場價值為 11.816 億美元。

技術摘要(含成果)：

在這項工作中，我們巧妙地應用了我們特有和獨特的吡咯亞氨糖分子庫 (ANI-A16)，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 α -葡萄糖苷酶 (GAA) 酶的穩定性評估。出乎意料的是，我們發現一些活性吡咯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 α -葡萄糖苷酶 (GAA)。此外，我們的數據顯示該化合物 (ACK420) 可以在向 Pompe 細胞系遞送藥物期間穩定外源性 GAA。ACK420 將可以減少蛋白質藥物在酵素替代療法 (ERT) 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或延續酵素使用效率。

優勢：

1. 易於配製且無毒
2. 細胞實驗顯示比目前已知的小分子有更好的效果和活性
3. 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之費用。

競爭產品：

AT2220, AT2221 (Amicus)

專利現況：

- (1) 本技術已有相關專利。
- (2) 本研究團隊具有長期對酵素穩定劑的研究經驗

聯絡方式(請不用填)：

臺大產學合作總中心

Tel: 02-3366-9945, E-mail: ntuciac@ntu.edu.tw