

## 附件四、技術說明表



### 涎酸酵素缺乏症之基因治療

提案人：胡務亮 教授

單位：國立臺灣大學 醫學系小兒科

簡歷：台大醫學系畢業及分子醫學研究所博士。臺大醫院小兒科住院醫師、主治醫師，小兒部副主任，基因醫學部主任。

市場及需求：涎酸酵素缺乏症是一種罕見體染色體隱性先天代謝異常疾病，目前沒有有效的治療。患者的症狀包括肌抽躍型發作、走路不穩、視力退化等。涎酸酵素缺乏症的新治療的開發有急切的需求。

技術摘要(含成果)：我們建立了一個涎酸酵素缺乏症的小鼠模式，接著建構基因治療之載體。在細胞證明這個載體的功能以後，我們將載體注射到病鼠的體內，我們發現病鼠腦部由疾病造成的病變在治療後有減少，老鼠的運動功能也有得到改善。

優勢：我們首先成功涎酸酵素缺乏症小鼠的基因治療。

競爭產品：世界上其他的研究團體都還沒有發表類似的研究成果。

專利現況：

- (1)本研究團隊過去曾成功研發出人類之基因治療。
- (2)世界上其他的研究團體都還沒有發表涎酸酵素缺乏症治療之專利。

聯絡方式(請不用填)：

臺大產學合作總中心

Tel: 02-3366-9945, E-mail: [ordiac@ntu.edu.tw](mailto:ordiac@ntu.edu.tw)