

附件四、技術說明表



AADC 缺乏症之基因治療

(以下內容一頁為限，不可揭露關鍵技術內容；填表完成後請刪除此行)

提案人：胡務亮 教授
 單位：國立臺灣大學 醫學院 小兒科
 簡歷：(可列出相關連結，例如系所/研究室網頁)

市場及需求：

本發明包括一種治療兒科受試者的 AADC 缺乏的方法。

技術摘要(含成果)：

本發明涉及用於處理芳香族化合物的組合物和方法。L-氨基酸脫羧酶 (AADC) 缺乏。本發明包括一種治療兒科受試者的 AADC 缺乏的方法，包括以下步驟：(a) 提供包含 rAAV2-hAADC 載體的藥物製劑，(b) 立體定向地將藥物製劑遞送至腦中的至少一個靶位點受試者的劑量至少約 1.8×10^{11} vg；其中選擇性地透過無框架立體定位將藥物製劑遞送至腦，並且任選地其中劑量是至少約 2.4×10^{11} vg 的量，並且在一些實施方案中，其中藥物製劑包含約 5.7x 濃度的 rAAV2-hAADC 載體 10^{11} 毫克/毫升。本發明也涉及處理芳香族化合物的方法。L-胺基酸脫羧酶(AADC) 缺乏症，其中該方法可選擇性進一步包括向受試者施用治療有效劑量的多巴胺拮抗劑例如利培酮的步驟。本發明也涉及處理芳香族化合物的方法。L-胺基酸脫羧酶(AADC) 缺陷，其中該方法可選擇性地包括提供包含 rAAV2-hAADC 載體和空衣殼的藥物製劑。

優勢：

無

競爭產品：

無

專利現況：

- (1) 本技術已有相關專利。
- (2) 本研究團隊具有數十年研究經驗。

聯絡方式(請不用填)：

臺大產學合作總中心

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