

附件四、技術說明表



替格魯西布用於黏治療多醣症二型的用途

(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： 黃祥博 教授

單位： 國立臺灣大學 基因體暨蛋白質醫學研究所

簡歷： (可列出相關連結，例如系所、研究室網頁)

https://www.mc.ntu.edu.tw/medgenpro/Vcard.action?q_type=-1&q_itemCode=380

請放任一代表照片或圖片
(不可揭露技術內容；如無代表照片或圖片提供，可刪除此方框)

市場及需求：

第二型黏多醣患者在目前的治療體系中，使用人類重組 IDS 靜脈注射的酶替代療法 (ERT) 無法穿過血腦屏障進行中樞神經系統治療。

技術摘要(含成果)：

我們的技術使用來自 MPS II 患者的 iPSC 衍生神經模型，闡明關鍵的退行性機制，並評估潛在的藥物治療，發現小分子藥物 Tideglusib 可以有效糾正受擾亂的信號傳遞途徑，並提升神經元存活率和功能。

優勢：

Tideglusib 這種小分子藥物可過血腦屏障，且治療之機制與現行藥物完全不同，且藥物動力學與藥效學為已知，因此具有可以輔助治療第二型黏多醣患者 (尤其是嚴重型亦即有神經退化者) 的潛力，並可較快速進入臨床試驗。

競爭產品：

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. 發展的 JR-141 是抗人運鐵蛋白受體抗體與 IDS 的重組融合蛋白，臨床試驗短期似乎某些病人神經認知方面有進步，長期效果則未知，JCR 同意武田在 3 期研究完成後獲得在美國獨家商業化 JR-141 的授權。

專利現況：

- (1) 本技術已有美國/臨時專利，申請案號：63/617,433。
- (2) 本研究團隊具有三十年研究經驗

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

本資料僅供國立臺灣大學專利/技術申請使用，嚴禁使用全部或部分內容於其他用途。若有疑問請與我們聯繫，我們將盡力協助您。