

各位善長：

推動及支援「小腦萎縮症科研工作」步行籌款

香港小腦萎縮症協會(下稱本會)為小腦萎縮症病者及家屬組成的非牟利團體，於 2007 年成立，其宗旨除了發揮病友及家屬的互助精神，正視他們在生活、情緒及心靈方面的需要，還希望促進社會人士對小腦萎縮症的認識和關懷與及關顧病友的福利及合理權益。小腦萎縮症(簡稱 SCA)，現仍未有藥物治療，而 SCA 屬於罕見疾病，備受忽視，所以本會更著力提高醫學界和科研人員對小腦萎縮症的關注。

現幸得香港中文大學生命科學院陳浩然教授十多年來全心全意致力研究 SCA 成因及治療。他與研究團隊於 2012 年發明了「P3」多肽分子，能有效抑制神經細胞退化，團隊已研究用藥物溶解 Poly Q 蛋白聚合體，以釋放 YY1 蛋白令其回復功能。最近他和研究團隊找出引致 SCA 病者步履不穩的元兇，源由一種毒蛋白「Fuz」，現也正研究尋得藥物抑制 Fuz 蛋白過高的水平。(詳見本會網頁 www.hkscaa.org)

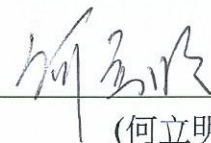
雖然團隊已進行藥物試驗，在白老鼠身上取得初步成果，但仍需與藥廠合作，優化藥物，用在大型靈長類動物作試驗，若能成功，始可進一步作人體臨床試驗。惟最近陳教授向多個基金申請資助均未能成功，恐令研究停頓不前。SCA 病友獲得醫治變得遙遙無期，非常可惜。

科研中，需要大量病人的數據作支援，由於 SCA 屬罕見疾病，病人數目有限，所以對罕病患者作出詳盡的病況資料登記，實為罕病研究不可或缺的。可是香港政府尚未為罕有疾病作出病人登記冊。因此本會於 2013 年開始，承蒙幾位顧問醫生與陳浩然教授，合力自行推展「香港脊髓小腦萎縮症患者登記冊」。可惜現也由於經費問題，未能聘用合適人手，故登記冊的進展緩慢。因此是次籌款，部份將撥作病人名冊的使用上。

本會步行籌款將 11 月 24 日舉行，盼能延續小腦萎縮症的科研工作。(詳見後頁)雖然研究經費動輒百萬元，本會所能籌得的款項可能如杯水車薪，但為救燃眉之急，望善長們慷慨解囊，多多益善，少少無拘，盡己所能，當能集腋成裘，讓研究團隊度此難關！

如蒙樂助，銘感於心！行善積德，福有攸歸！

香港小腦萎縮症協會主席



(何立明)

謹上

2018 年 10 月 1 日