

中大跨學科研究團隊為罕見神經系統疾病研發新藥物

香港中文大學（中大）生命科學學院陳浩然教授及其團隊多年來一直致力研究與神經系統有關的罕見病之致病原因及治療方案，最近發明了一種名為 **P3** 的多肽分子，能有效抑制神經細胞退化，並已取得美國專利及商標局的專利，可望成為新藥物，為罕見神經系統病患者帶來令人振奮的消息。有關研究已刊載於著名病理學研究期刊 **Disease Models & Mechanisms**。是項發明於 2016 年 2 月 23 日在中大舉行發佈會。

陳浩然教授及其團隊的研究所針對的疾病，是一組名為 **polyQ**（多聚谷氨酰胺疾病，**Polyglutamine Diseases**）的神經系統疾病，包括六種小腦萎縮症(**SCA1,2,3,6,7,17**)及亨廷頓症等罕見疾病。

2012 年陳教授及其研究團隊揭示了引發神經細胞凋亡的過程，為無法治癒的神經系統疾病開拓新的治療方向。他們發現細胞中具毒性的 **RNA** 分子會干擾蛋白質「核仁素」的功能，阻止「核仁素」在細胞核內製造核糖體（所有細胞均依賴核糖體的正常運作來維持生命）。經過四年的努力及多項嚴格的測試，發明了 **P3** 多肽分子，能有效抑制神經細胞退化。化學合成的 **P3** 包含了天然核仁蛋白中的 13 個氨基酸肽，能直接與致病的 **RNA** 產生作用，壓制其毒性，其治療效用已於細胞及動物疾病模型中證實，亦已於病人細胞進行測試。

陳教授現時已就 **polyQ** 研究成立了跨地域、跨學科的研究合作網絡，其合作伙伴覆蓋至丹麥、法國、意大利、英國及美國等地域。並與丹麥哥本哈根大學的多肽研究專家 **Knud J. Jensen** 教授合作，以進一步提升 **P3** 的生物活性及其穩定性。現時正尋找製藥界的合作伙伴以提升 **P3** 的效能。

也許研藥過程仍需經年，但畢竟對治療小腦萎縮症已踏前一大步，看見曙光！

(本文刊登於 2016 年 4 月香港小腦萎縮症協會會訊第 36 期)