

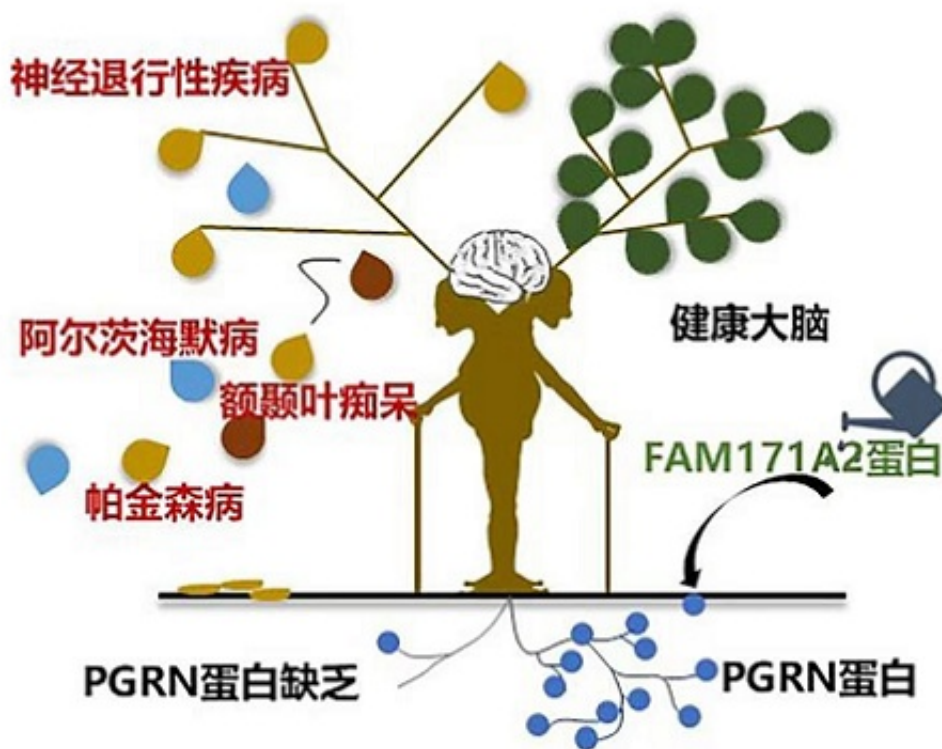
科学家发现神经退行性疾病防治新靶点

作者：writer 来源：爱科学

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/11770.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

科学家发现神经退行性疾病防治新靶点。



FAM171A2基因参与神经退行性疾病发生机制示意图

复旦大学附属华山医院神经内科郁金泰教授、董强教授临床科研团队与青岛大学附属青岛市立医院谭兰教授团队、哈佛大学麻省总院张灿教授和陆军军医大学大坪医院王延江教授等合作，首次发现一个全新的基因（FAM171A2）与阿尔茨海默病、帕金森病等神经退行性疾病的发病风险显著相关，该基因通过调节血脑屏障和神经炎症等方面的功能，参与了神经变性疾病的发生。相关研究成果近日在线发表于《科学进展》。

据郁金泰介绍，这次新发现的基因（FAM171A2），可调控血管内皮细胞前体颗粒蛋白（progranulin, PGRN）生成，影响PGRN水平，而PGRN是一种分泌型多功能糖蛋白，在人体中枢神经系统和外周均有分布，它参与了神经发育、再生，神经炎症、自噬等生命活动。如发生PGRN的功能障碍，就会导致多种神经退行性疾病发生。因此，长期来，科学家一直在寻找PGRN的调控分子，它对神经退行性疾病的发病机制和防治研究具有重要意义。

研究人员首先通过全基因组关联分析、独立人群验证以及生物信息学分析首次发现：FAM171A2基因与脑内PGRN水平降低、变异具有显著的相关性；FAM171A2基因与PGRN在功能上可富集多个相同的通路；FAM171A2基因与阿尔茨海默病、帕金森病和额叶颞叶变性等神经退行性疾病的发病风险显著关联。

在进一步研究中，临床科研团队通过双荧光素酶报告实验、基因沉默/过表达等实验，进一步证实FAM171A2基因可调控PGRN的生成与分泌。更重要的是，科研团队经深入研究，明确FAM171A2基因在血管内皮细胞和小胶质细胞上有表达。此结果提示，该基因已具备调节血脑屏障和神经炎症等方面的功能，参与了神经退行性疾病的发生。

郁金泰表示，FAM171A2基因通过调节PGRN水平，影响了神经退行性疾病的发病风险，是神经退行性疾病防治的潜在新靶点，但它是一个全新的基因，以往从未有过该基因功能的研究报道。接下来，他们就将就FAM171A2基因在神经退行性疾病中发挥的作用、调节机制以及临床转化开展深入研究。（来源：中国科学报孙国根 黄辛）

相关论文信息：DOI: 10.1126/sciadv.abb3063

版权声明：凡本网注明来源：中国科学报、科学网、科学新闻杂志的所有作品，网站转载，请在正文上方注明来源和作者，且不得对内容作实质性改动；微信公众号、头条号等新媒体平台，转载请联系授权。邮箱：shouquan@stimes.cn。

作者：郁金泰等 来源：《科学进展》

更多 科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](https://www.iikx.com)转发