

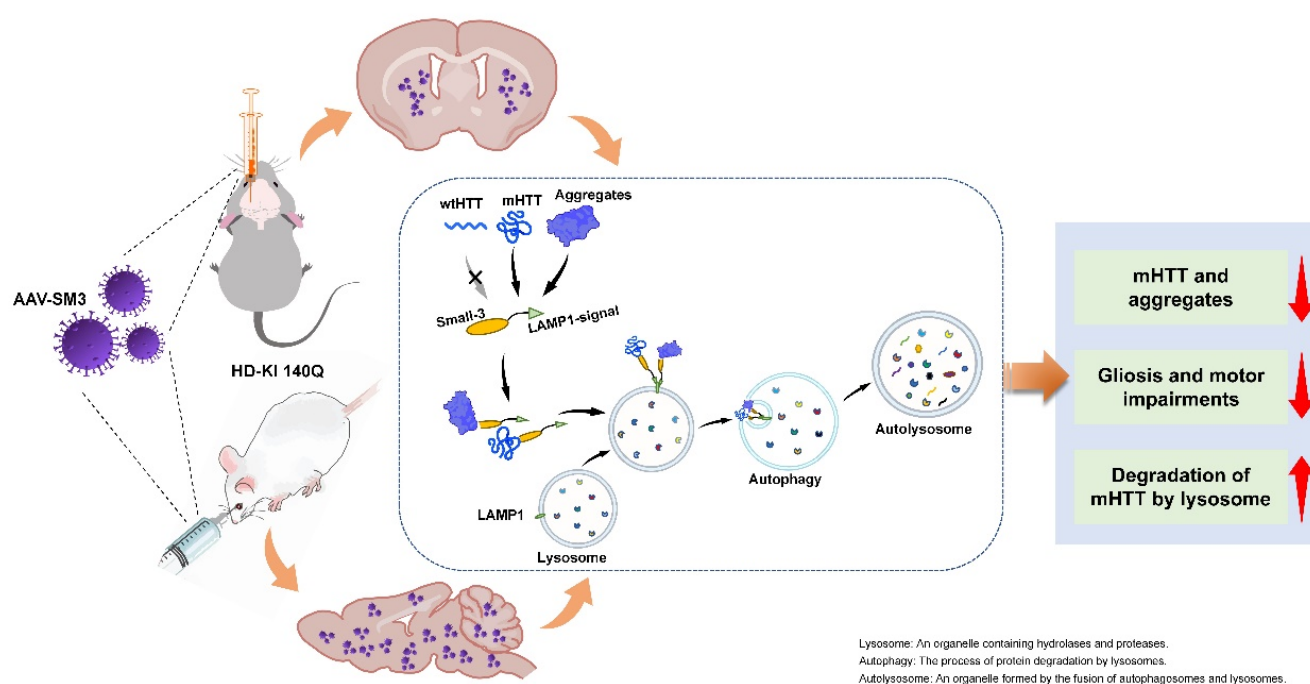
新方法有望治疗亨廷顿舞蹈症

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/24231.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！

新方法有望治疗亨廷顿舞蹈症。近日，暨南大学粤港澳中枢神经再生研究院李世华、闫森和李晓江等人成功构建一种Mini-intrabody，其可以特异性地将变异亨廷顿蛋白带入溶酶体进行降解从而减少毒性蛋白累积，有望为亨廷顿舞蹈症的治疗提供一种新的方案。相关成果在线发表于《先进科学》。李世华、闫森和李晓江为该论文共同通讯作者，李彩娟和林颖琪为共同第一作者。



intrabody治疗亨廷顿舞蹈症（KI-140Q）小鼠总结图。研究团队 供图

亨廷顿舞蹈症是由突变亨廷顿蛋白在细胞内累积引起的单基因突变显性遗传的神经退行性疾病。变异亨廷顿蛋白在中枢神经系统导致神经元的损伤和死亡。错误折叠蛋白的累积是许多神经退行性疾病发生的主要及共性原因，因此，治疗这些疾病最直接有效的方式就是降低或清除突变蛋白的水平。

研究人员构建了一个迷你型的intrabody肽段（SM3），它可以在识别和结合亨廷顿蛋白之后，再将亨廷顿蛋白带入到溶酶体，从而通过激活溶酶体自噬途径达到降解亨廷顿蛋白的目的。研究结

果表明，通过脑立体定向注射和眼眶静脉注射递送AAV-SM3两种给药方式均有效地降低了亨廷顿舞蹈症小鼠大脑中的可溶性和不溶性亨廷顿蛋白，并有效改善了亨廷顿舞蹈症相关的胶质增生等神经病理和运动障碍。总的来说，SM3为成年期治疗亨廷顿舞蹈症提供了一种新的治疗策略。

亨廷顿舞蹈症患者的病理和临床表现会随着年龄的增长而加重。Mini-intrabody的研究为亨廷顿舞蹈症疾病中后期的治疗提供了一种潜在的小分子治疗手段，并且为AD、PD和ALS等其他由蛋白质错误折叠引起的神经退行性疾病的治疗也提供了新的思路和治疗方法。

上述研究得到国家重点研发计划、国家自然科学基金委、广州市脑科学重点研究计划、暨南大学、广东省科技厅，广州市科技局，广东省非人灵长类动物模型研究重点实验室的大力支持。（来源：中国科学报 朱汉斌）

相关论文信息：<https://doi.org/10.1002/advs.202301120>

作者：李世华等 来源：《先进科学》

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