
全球首次！复旦科研团队发现帕金森病全新治疗靶点

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/31817.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！

全球首次！复旦科研团队发现帕金森病全新治疗靶点

。近期，复旦大学附属华山医院郁金泰团队通过5年的临床和基础研究获得重大科研突破，在全球首次发现了帕金森病全新治疗靶点FAM171A2。此次研究发现的全新治疗靶点和候选新药有望从疾病早期对帕金森病进行干预，延缓疾病进展。相关研究成果于北京时间2月21日在线发表于国际学术期刊Science（《科学》）。

患病人数持续攀升 帕金森病成世界难题

帕金森病是仅次于阿尔茨海默病的第二常见的神经退行性疾病，严重影响患者日常生活。全球帕金森病患者人数预计将从2015年的700万左右增至2040年的1300万，我国帕金森病患者总数约占全球一半。传统药物和手术治疗都只是针对帕金森病的症状进行治疗，不能延缓疾病进展，因而进一步研究帕金森病致病的深层原因并开展针对性治疗，成为全球相关领域科学家竞相探索的战略高地。

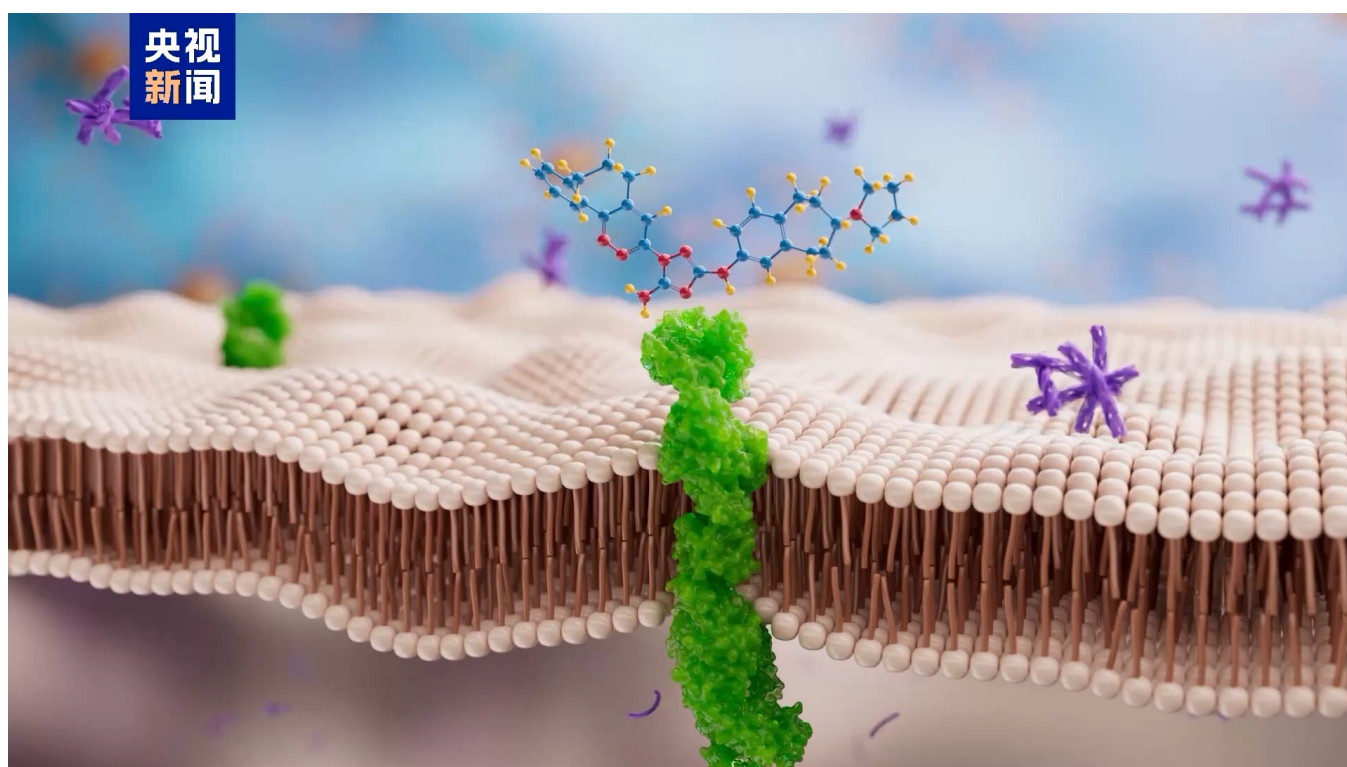
全球首次发现FAM171A2靶点是病理性 α -突触核蛋白传播的关键

复旦大学附属华山医院郁金泰团队通过长达5年的潜心钻研，明确了PD关键致病蛋白——病理性 α -突触核蛋白在神经元间的传播“导火索”，并发现了抑制其传播过程的候选新药，为帕金森病治疗提供了新思路。

研究团队首先从大规模人群的全基因组关联分析中，发现FAM171A2是帕金森病风险基因，FAM171A2是一种神经元细胞膜蛋白，但其功能此前从未被人研究过。郁金泰团队经过系列研究证实了神经元膜受体FAM171A2蛋白是促进病理性 α -突触核蛋白传播的关键，在全球首次揭示了FAM171A2蛋白与 α -突触核蛋白的结合机制。

基于帕金森病患者临床样本分析，团队发现帕金森病患者大脑中FAM171A2蛋白含量增高，且FAM171A2含量越高的患者，其脑内病理性 α -突触核蛋白含量也越高。紧接着，通过一系列体内外实验，研究团队发现在神经元细胞膜上，FAM171A2像“智能识别门”一样，可选择性地结合病理性 α -突触核蛋白，并携带其进入到神经元中，诱导神经元内单体形式的 α -突触核蛋白发生错误折叠，造成神经元死亡和其在神经元间的传播。随后，研究团队通过转基因动物证实，敲除小鼠神经元上FAM171A2，可以有效控制小鼠帕金森样症状的进展。

对于此次的研究发现，《科学》杂志审稿人指出，识别病理性 α -突触核蛋白聚集体的神经元受体是帕金森病研究领域的“圣杯”，它能提供阻断病理传播并延缓疾病进展的治疗方法；该研究探讨了一个至关重要且具有重大意义的科学问题，是一项非常有趣、新颖、重要且具有转化意义的研究。



?

帕金森病患者在出现运动症状之前十几年，大脑内就已存在 α -突触核蛋白病理，本次研究发现有望在疾病的临床前期、前驱期和临床期通过靶向抑制原创新靶点FAM171A2，阻断病理性 α -突触核蛋白传播，延缓帕金森病进展。此外，开发靶向FAM171A2新药还可补充目前在临床期改善

运动症状的补充多巴胺水平的药物治疗、在临床晚期用脑起搏器的神经调控治疗手段，构建更完善的帕金森病标本兼治的治疗新体系。

在这一成果基础上，郁金泰团队申请了基于干预FAM171A2治疗帕金森病的国际专利，接下来，将全面、系统地开展寻找治疗帕金森病的小分子药物、抗体以及基因治疗手段的临床前研发工作，并进一步将相关成果推向临床试验和临床应用。

（总台央视记者潘虹旭 吴汶倩）

（原题：全球首次！复旦大学科研团队发现帕金森病全新治疗靶点）

作者：潘虹旭，吴汶倩 来源：央视新闻客户端

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