

L-精氨酸

~作为PolyQ病治疗剂的应用~

发明要点

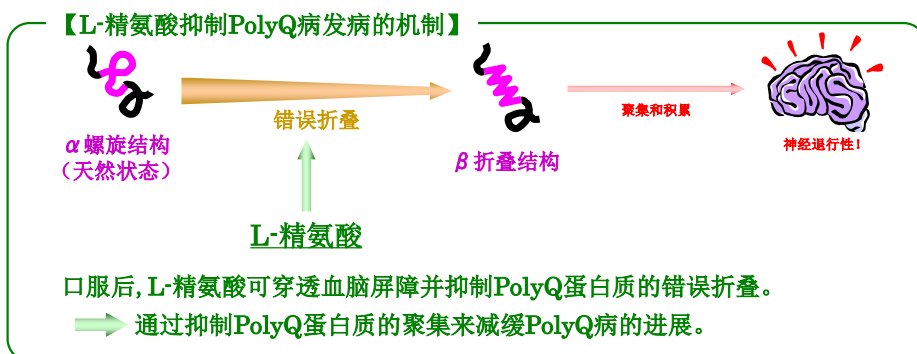
对引起聚谷氨酰胺病（PolyQ病）的聚谷氨酰胺蛋白质的聚集，L-精氨酸具有很高的抑制作用。

→ 作为PolyQ病治疗剂，正在进行医师主导的L-精氨酸临床试验。



发明概要

L-精氨酸通过抑制PolyQ蛋白质的错误折叠来减少大脑中PolyQ蛋白质的聚集和积累。



L-精氨酸对蛋白质聚集和积累的抑制效果

使用荧光蛋白质观察的COS-7细胞（左边：无处理，右边：L-精氨酸处理后）

通过L-精氨酸处理，蛋白质积累减少

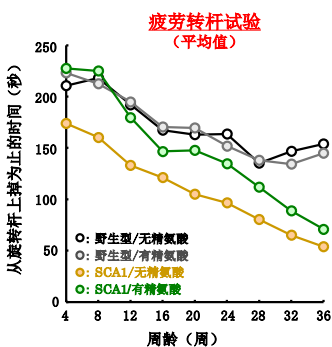
Brain 2020, 143, 1811-1825

发明效果

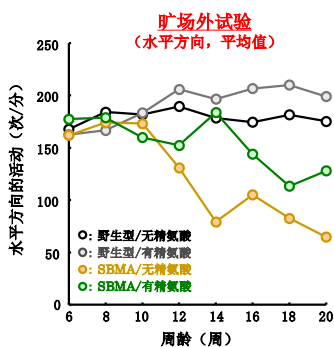
对PolyQ病的效果（小鼠试验）

- 遗传性脊髓小脑性共济失调1型（SCA1）：缓慢进行性小脑性共济失调，主要症状包括行走时的摇晃和构音障碍。
- 脊髓延髓性肌肉萎缩症（SBMA）：运动肌肉的神经逐渐减少的神经疾病，出现肌肉变薄等的症状。

【对SCA1小鼠的效果】



【对SBMA小鼠的效果】



通过这样的两项试验、与未治疗的SCA1小鼠相比，L-精氨酸治疗的SCA1小鼠的运动能力有所改善。

通过这样的两项试验、与未治疗的SBMA小鼠相比，L-精氨酸治疗的SBMA小鼠的运动能力有所改善。

预期用途

- ◎ 作为新的PolyQ病治疗剂（病程发展抑制剂）的应用
- ◎ 作为其他神经退行性疾病的新颖治疗剂（病程发展抑制剂）的应用

代表发明人：
永井 义隆
(近畿大学·教授)

共同发明人：
皆川 荣子
(京都大学·特聘助理教授) 等

可授权的专利
发明名称：药物组合物
国际出版号：WO2017222040
联系地址：JST知识产权管理推进部
电话号码) +81-3-5214-8486
电子邮件) license@jst.go.jp
URL) www.jst.go.jp/chizai/

