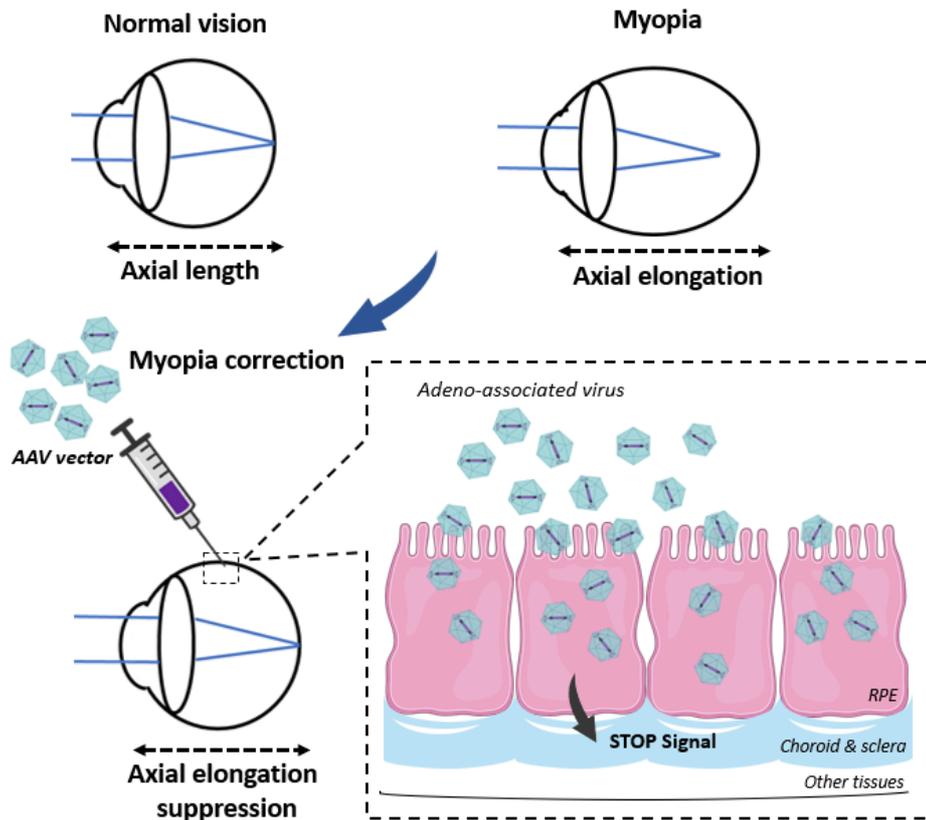


药物和基因疗法治疗遗传性牛眼症和青少年近视

 健康与保健
生物医学与基因工程



IP状态

专利已存档



技术成熟度等级 (TRL) ?

5

发明人

熊文君教授

麦淑仪

询问: kto@cityu.edu.hk

机会

多种人类眼病与眼球增大有关。眼的大小，尤其是眼球的轴向长度，是视觉功能的关键参数。在因遗传突变导致先天性高度近视或牛眼症的患者中，他们的眼睛极度增大，伴有严重的屈光不正，导致视力受损和继发性眼部病理变化。目前，对于遗传性高度近视疾病，如Bonnai-Barrow和Facio-oculo-acoustico-renal (DB/FOAR) 综合征和Stickler综合征，尚无可用治疗方法。青少年近视由环境因素、生活方式和遗传因素引起，也表现为眼部生长失调和轴向长度增加。根据最新的调查，青少年近视影响了香港和其他亚洲地区近50%的学龄儿童的视力。然而，目前没有有效的治疗方法能够完全阻止近视的发展。因此，对于不同形式的近视疾病，存在巨大的医疗需求，需要一种抗近视疗法。

技术

发明者开发了一种体内基因疗法来治疗先天性高度近视和牛眼症。这项发明基于他们对控制动物眼大小的新型分子机制的科学发现。简而言之，在视网膜色素上皮 (RPE) 中启动的Srebp2-Lrp2-Bmp2信号级联被发现控制着眼的大小。这个级联由眼生长停止因子 (Lrp2和Bmp2) 和眼生长促进因子

(Srebp2) 组成。一组携带RPE特异性启动子序列和改变Srebp2-Lrp2-Bmp2水平或活性的转基因的腺相关病毒 (AAV) 载体被开发用于抗近视基因疗法治疗。在动物实验中, 眼内注射这些载体 (如AAV-best1-Bmp2和AAV-best1-srebp2 shRNA) 预防了由Lrp2缺乏引起的高度近视和相关视网膜并发症的发展。因此, 这些基因疗法载体可能用于治疗由Lrp2突变引起的人类眼病, 以及治疗青少年近视, 因为它们共享相同的眼大小调节信号通路机制。

优势

- 首次为DB/FOAR综合征或Stickler综合征提出的治疗方案。
- 这种基因疗法可能比现有的药物和治疗先天性和青少年近视的方法更安全、更有效, 现有的方法可能有副作用。
- 这种基因疗法针对非神经元细胞类型, 即视网膜色素上皮, 因此可能更具特异性, 副作用更少。
- 除了基因疗法之外, 还可以应用靶向此眼大小通路组件的小分子药物或其他发明。

应用

- 该发明可以用于治疗DB/FOAR综合征、Stickler综合征或青少年近视患者, 以挽救他们的视力。
- 中国有大量青少年近视患者 (约占学龄儿童的50%), 而美国和欧洲的近视患者数量也在增加。DB/FOAR和Stickler综合征在美欧也有发现。

