



上海市药物研发协同创新中心
Shanghai Center for iDrug Discovery & Development

月报

2020年11-12月
(总第78期)



地址：上海浦东新区张衡路826号
邮编：201203
责编：赵俊瑜
联系方式：021-51980200
电子邮箱：scddd@fudan.edu.cn



工作亮点

1. 【中心举办“展望2021”智库专家座谈会】

2021年将至，中心如期举办了“展望2021”智库专家座谈会，邀请中科院上海药物所研究员沈竞康、上海市生物医药行业协会会长陈少雄、上海市生物医药科技产业促进中心主任傅大煦、上海市食品药品安全研究会副秘书长高惠君、复旦大学药学院副教授叶桦、嘉和生物CEO周新华等十余位生物医药行业的专家学者就2021年行业发展展望展开热烈的讨论。

2. 【“上海市生物医药协同创新信息平台”研讨会顺利举行】

为促进高校之间的交叉融合以及产学研的交流合作，全面提升长三角生物医药产业创新能力和水平，复旦大学上海市药物研发协同创新中心与上海市教育委员会科技发展中心联合共建了“上海市长三角生物医药创新信息平台”（以下简称“平台”），平台将持续收集并录入高校生物医药相关项目、技术、平台、仪器设备等信息，动态反映生物医药产业发展情况，为高校、科研院所和企业提供信息交流和促进研发合作、成果转化服务。针对平台建设、推广工作的需求，中心联合上海市教委在12月7日举办了“上海市长三角生物医药协同创新信息平台建设研讨会”，向与会高校科研管理部门相关负责人展示了平台建设成效，同时就进一步改进和完善平台的功能建设与服务能力进行了深入的交流探讨。



下月预告

- ◆ 1月5日（周二）13:00-16:00举办第三十期新药研发咨询服务开放日，欢迎前来咨询交流。



每月纪事

1. 【Science Café分享 | 新药靶标发现】

亨廷顿病（Huntington’ Disease, HD）是一种神经退行性疾病，它与阿尔茨海默症和帕金森病属于同类疾病。它主要引起纹状体的神经退变，临床表现为运动障碍、认知障碍和精神异常以及过早死亡等，比较典型的运动是舞蹈样的动作。HD是一种非常严重的疾病，**目前没有任何有效的治疗方法，只能暂时缓解症状。**

HD是单基因的常染色体显性遗传病，主要是由“HTT”基因的突变引起的。正常的HTT基因有一段**CAG重复**，**重复数小于36个**，该基因表达野生型HTT蛋白，野生型HTT蛋白在发育期间发挥着重要功能。而**突变的HTT基因中CAG重复数大于等于36**，CAG编码谷氨酰胺，突变的HTT蛋白富含谷氨酰胺氨基酸，这种重复序列具有神经毒性，可以影响下游近千个基因的表达，从而导致亨廷顿病的发生。突变的HTT蛋白有段过长的Poly-Q基因，因此也被成为“Poly-Q基因”。

目前已被发现的Poly-Q疾病有**9种**，都是由于不同的基因它所表达的蛋白的Poly-Q过长引起的，这9种疾病都是罕见病，其中亨廷顿发病率约为**万分之一左右**，其他的Poly-Q疾病更为罕见。研究发现Poly-Q基因携带者比发病的人群数量多，携带致病基因的人群并不罕见，比例甚至高达到1%，其有两个原因所致，一是这些疾病多数在中老年时期发病，很多携带者还未到发病年龄。另一原因是发病跟CAG的重复数有关系，重复数超过一定的数目才可发病，但是在一定的范围内不一定发病……

精彩报告，码上观看 →

