



DNW-14022 の概要

課題番号 : DNW-14022

課題名 : ニーマンピック病 C 型治療薬の開発

主任研究者 (Principal Investigator) :

江良 択実 (国立大学法人熊本大学発生医学研究所)

DNW-14022 では、ニーマンピック病 C 型 (NPC) 患者における重症肝障害・肝脾腫・生命予後の改善を目的とした、新たな治療薬 (HPGCD : 2-hydroxypropyl- γ -cyclodextrin) の開発に必要な前臨床試験パッケージを構築中である。

- NPC 患者 iPS 細胞由来の肝細胞と神経細胞を用いて薬剤候補物質を探索し、HPGCD がコレステロール蓄積の低減作用並びに細胞機能の正常化作用を有することを発見した。
- NPC 病態モデルマウスにおいて、HPGCD は肝機能障害並びにコレステロール蓄積の顕著な改善、生存期間の延長等の治療効果を示した。
- 細胞障害性試験、マウス単回・2 週皮下投与試験で、HPGCD は欧米で開発中の HPBCD (2-hydroxypropyl- β -cyclodextrin) に比べて安全性が高いことを明らかにした。
- 第一相試験開始に向け、ラット・イヌ毒性試験(静脈内投与)、薬物動態試験、薬効薬理試験、バイオマーカー測定法構築等の前臨床研究を実施した。
- 非臨床試験用の原薬を製造し、治験用の原薬合成の検討並びに製剤化の検討を行った。
- HPGCD の用途特許およびコレステロール蓄積疾患治療薬スクリーニング法に関する特許を出願済みである (1 件)。

本資料は、創薬総合支援事業（創薬ブースター）による支援の終了時の情報をもとに作成しています。