



DNW-16008 の概要

課題番号 : DNW-16008

課題名 : てんかん治療薬開発に向けた新規標的分子の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

井上 剛 (国立大学法人岡山大学大学院医歯薬学総合研究科)

課題番号 DNW-16008 では、タンパク質 X を標的として新たな難治性てんかん治療薬の創出に取り組んでいる。

- 創薬コンセプト :

既存薬が効かない難治性てんかんに対し、ケトン食療法が有効であることが知られている。ケトン食の有効性に関与する代謝経路上にあると考えられる神経電気活動を制御するタンパク質 X を同定し、てんかん治療薬の創薬標的とする。

- ターゲットプロダクトプロファイル :

既存治療薬に抵抗性の難治性てんかん患者に有効な新規治療薬で、低分子化合物による経口薬。

- 創薬コンセプトの妥当性を支持するエビデンス :

以下のことが PI らにより報告されている。

1) 難治性てんかんに有効な食事療法としてケトン食療法が知られていたが、PI は、「アストロサイト-ニューロン乳酸シャトル」と呼ばれる代謝経路を阻害することで、ケトン食療法の考え方に基づく治療薬が創出可能であることを明らかにした。

- 創薬に向けたアプローチ :

1) 上記の創薬標的分子の同定に必要なプローブ作製を行っており、標的分子に特異的に結合することが期待されるプローブの合成に加え、非特異的な結合物質を排除するためのダミープローブの合成を進めている。

2) 作製したプローブを用い、脳 lysate から創薬標的分子の探索を行う。

- 知財対応：
出願済みの特許はない。
- 最終目標：
リード候補化合物またはリード化合物の取得
ツール化合物および有望化合物を用いた POC in animal の取得など、創薬コンセプトの証明。

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。