



## DNW-15006 の概要

課題番号 : DNW-15006

課題名 : 筋萎縮症の治療法開発に係る創薬基盤バイオマーカーの探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

山梨 裕司 (国立大学法人東京大学医科学研究所)

課題番号 DNW-15006 では、筋萎縮症の治療法および病態進行・改善の指標となるバイオマーカーの創出に取り組んでいる。

- 創薬コンセプト :
  - 生体構造 X を強化する化合物は、筋萎縮症を惹起する X の異常を改善し、病態を抑制する治療薬となりうる。
  - また、筋萎縮症モデルマウスを用いて創薬に必要なバイオマーカーを探索する。
- ターゲットプロダクトプロファイル :
  - 対象疾患は筋萎縮症
  - 筋萎縮症における症状の改善と進行の遅延が可能な経口あるいは注射薬 (低分子化合物、天然物若しくは天然物誘導体)
  - 薬剤の有効性の検証が可能な薬効バイオマーカー
- 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) 生体構造 X の異常が筋萎縮症の原因となることを発見した。
- 創薬に向けたアプローチ :
  - 1) 構築済みの HTS (high throughput screening) 系を活用したスクリーニングを実施中であり、低分子化合物あるいは天然物ライブラリーからヒット化合物を得る。
  - 2) 筋萎縮症モデルマウス由来体液等を用いたバイオマーカー探索を行っており、筋萎縮症病態の進行を高感度に評価し得る分子、並びに代謝経路の候補を絞り込んだ。バイオマーカー探索を引き続き行うとともに、候補の有用性検証を行う。

- 知財対応：  
十分なデータが得られた時点で取得化合物に関する出願を行う。
- 最終目標：  
リード候補化合物またはリード化合物の取得。  
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。