



DNW-18032 の概要

課題番号 : DNW-18032

課題名 : ペルオキシソーム形成遺伝子変異による繊毛病治療剤の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

宮本 達雄 (国立大学法人広島大学原爆放射線医科学研究所)

課題番号 DNW-18032 では、ペルオキシソーム形成遺伝子変異による繊毛病治療剤の創出を目的として、ペルオキシソームを介した繊毛へのコレステロール輸送の標的妥当性を検証している。

- 創薬コンセプト :
ペルオキシソームを介したコレステロールの繊毛への輸送を促進することで、ペルオキシソーム形成遺伝子変異による繊毛病を治療する。
- 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。
ヒト培養細胞におけるタイムラプスイメージング解析により、「ペルオキシソーム」と「一次繊毛」間のコレステロール輸送経路を見出した。さらに、コレステロールの補充により Zellweger 症候群患者の繊毛関連シグナル (Sonic hedgehog) 伝達障害が回復することを明らかにした。
- 最終目標 :
ペルオキシソームを介したコレステロールの繊毛への輸送を促進する薬剤の同定を行う。

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。