



DNW-18034 の概要

課題番号 : DNW-18034

課題名 : 新規嚢胞性線維症治療薬の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

沖米田 司 (学校法人関西学院関西学院大学理工学部)

課題番号 DNW-18034 では、嚢胞性線維症治療薬の新しい治療法の確立に向けて標的候補の妥当性検証に取り組んでいる。

- 創薬コンセプト :
形質膜上の変異型 cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (CFTR) の安定性を改善することでその機能を回復させる。
- 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。
 - ・ 形質膜上の変異型 CFTR のユビキチン化を促進するタンパク質 X を特定した。
 - ・ タンパク質 X の発現抑制または変異型 CFTR との結合阻害により、形質膜上の CFTR タンパク質量が増加し、塩素イオン輸送能が増強することを示した。
- 最終目標 :
患者由来細胞を用いて標的候補の妥当性を検証し、先行薬との差別化につながるようなデータを取得する。

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。