



## DNW-17013 の概要

課題番号 : DNW-17013

課題名 : タンパク質リン酸化酵素を標的としたポリグルタミン病治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

石谷 太 (国立大学法人群馬大学生体調節研究所)

課題番号 DNW-17013 では、酵素 X を標的として、新たなポリグルタミン病治療薬の創出に取り組んでいる。

- 創薬コンセプト :

タンパク質リン酸化酵素 X はポリグルタミン病の発症を正に制御し、異常ポリグルタミンタンパク質をリン酸化して細胞内への蓄積を高める。酵素 X を阻害することにより、異常ポリグルタミンタンパク質の神経細胞内への蓄積を抑制し、ポリグルタミン病の進行を遅延させる。

- ターゲットプロダクトプロファイル :

経口投与可能で、中枢移行性を有する酵素 X 阻害剤であり、ポリグルタミン病の進行を遅延させる。治療をする上で、有効性の benefit を上回る副作用を示さない。

- 創薬コンセプトの妥当性を支持するエビデンス :

ポリグルタミン病モデルマウスにおける諸症状は、酵素 X の機能を阻害することで回復することが報告されている。

- 最終目標 :

リード化合物を最適化し、企業導出を図る。

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。