



## DNW-19024 の概要

課題番号 : DNW-19024

課題名 : リポキシトーシス抑制を機序とする骨軟骨異形成症治療メカニズムの検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

今井 浩孝 (学校法人北里研究所北里大学薬学部)

課題番号 DNW-19024 では、酵素 X を標的として、新たな骨軟骨異形成症治療薬の創出に取り組んでいる。

- 創薬コンセプト :  
ヒト骨軟骨異形成症患者における遺伝子変異による軟骨細胞死 (リポキシトーシス) に関与する酵素 X を阻害することにより、軟骨細胞死を抑制し軟骨形成不全を改善する。
- ターゲットプロダクトプロファイル :  
遺伝子変異による骨軟骨異形成症患者に対し、経口又は注射により、骨軟骨形成不全の改善を促す酵素 X の阻害剤
- 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) 骨軟骨異形成症の異なる病型の背景に共通して、遺伝子の変異があることを見いだした。
  - 2) 遺伝子の欠損によって新規な細胞死のメカニズムが存在することを明らかにし、この細胞死を惹起する分子標的として酵素 X を同定した。
- 最終目標 :  
骨軟骨異形成症治療メカニズムにおける酵素 X の創薬標的としての妥当性を検証する。酵素 X を阻害し、骨軟骨異形成症治療効果を有する低分子化合物を見いだす。

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。