



DNW-18003 の概要

課題番号 : DNW-18003

課題名 : 新規オートファジーを応用したポリグルタミン病予防薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

清水 重臣 (国立大学法人東京医科歯科大学難治疾患研究所)

課題番号 DNW-18003 では、新規オートファジーを活性化する化合物を取得し、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 :

Atg5/Atg7 非依存的新規オートファジーを活性化し、神経細胞内でのポリグルタミンタンパク質の蓄積を抑制し、病態の発症を遅延する、または症状を緩和する。

- 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。

1) オートファジーの実行には、Atg5 や Atg7 等の分子が必要不可欠であると考えられてきたが、PI は、これらの分子を全く必要としない新しいタイプのオートファジー（新規オートファジー）を発見した。すべての細胞で、従来の Atg5/Atg7 依存型オートファジーと新規オートファジーの 2 種類のオートファジー機能を有していることを確認している。

- 最終目標 :

Atg5/Atg7 非依存的な新規オートファジーを活性化し、神経細胞内でのポリグルタミンタンパク質の蓄積を抑制する化合物を取得し、その標的分子を同定する。

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。