



DNW-19010 の概要

課題番号 : DNW-19010

課題名 : 筋ジストロフィー新規治療法の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

山内 啓太郎 (国立大学法人東京大学大学院農学生命科学研究科)

課題番号 DNW-19010 では、タンパク質 X を標的として、新たな筋ジストロフィー (DMD) 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 X を発現した Y 細胞に作用するタンパク質 X 機能抑制抗体により、周囲の正常細胞の機能を維持することで病態の進行を抑制する。

- ターゲットプロダクトプロファイル :

医薬品の形態 : 抗体注射薬 (筋注、静注)。

位置づけ

DMD : プレドニゾロンとの第一併用薬

期待される薬効 : 日常生活 (言語、嚥下、身の回りの動作、歩行など) における症状の進行の遅延 (例えば、人工呼吸器治療開始時期の遅延や生存期間の延長等) が期待できる。

- 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) PI が作出した DMD ラットは、ヒト DMD に見られる病態をほぼ忠実に再現したモデルである。PI はこのラットモデルの優位性を利用し、DMD 骨格筋では細胞老化という現象が生じていることを初めて見いだした。

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。