



## DNW-21016 の概要

課題名 : 廃用性筋萎縮の発症・進展メカニズムの検証  
主任研究者 (Principal Investigator) :  
小川 渉 (国立大学法人神戸大学大学院医学研究科)  
ステージ : 標的検証前期

### 【標的疾患】

廃用性筋萎縮、サルコペニア

### 【創薬標的】

標的 X

### 【創薬コンセプト】

標的 X の機能亢進により、筋線維内の萎縮シグナルを止め、筋肉量の低下を抑制し、運動機能の低下を抑制する薬剤

### 【ターゲットプロダクトプロファイル】

骨折により四肢の安静を強いられる患者、外科手術や重篤な急性疾患の治療のために床上安静を強いられる患者などを対象に、安静開始前、あるいは開始中に投与して、筋量減少と運動機能低下を抑制し、早期離床、早期日常復帰を目指す薬剤

### 【モダリティの設定】

低分子化合物

### 【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 らにより明らかにされている。

- 1) ストレプトゾトシン (STZ) 誘発糖尿病マウスにおいて、骨格筋で萎縮シグナルの制御因子である KLF15 タンパク質量が増加
- 2) KLF15 ノックアウトマウスでは、STZ により糖尿病を誘発しても、骨格筋量の減少が抑制される。

### 【科学的、技術的な優位性】

- ◆ 標的 X が不動態により骨格筋で発現が低下すること、標的 X が筋量制御に関わることを世界に先駆けて見出した。

- ◆ 不動化により筋減少をきたした患者の筋生検試料においても標的 X の発現が低下するという成績を得ており、仮説はヒトでも一定程度妥当性が検証されている。
- ◆ 骨格筋で筋萎縮に関わるシグナルを評価できるバイオイメーjing技術という独自性の高い生体での評価系を確立している。

#### 【支援ステージにおける目標】

Cre 依存性に標的 X を発現できるマウスを作出すること。  
標的 X の機能亢進を評価できるアッセイ系を構築すること。

#### 【関連特許】

無し

テーマに関するお問い合わせは下記までお寄せください。

Principal investigator へのお問い合わせはご遠慮くださるようお願いいたします。

(問合せ先)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 創薬事業部

E-mail : id3desk@amed.go.jp