



DNW-17005 の概要

課題名 : 色素性乾皮症治療薬の開発
主任研究者 (Principal Investigator) :
錦織 千佳子 (国立大学法人神戸大学大学院医学研究科)
ステージ: 最適化

【標的疾患】

色素性乾皮症

【創薬標的】

遺伝子 X

【創薬コンセプト】

多くの色素性乾皮症患者で変異が認められる遺伝子 X を標的とする。
遺伝子 X の変異をホモ接合体で有する重症型患者で、変異した遺伝子 X から発現し微量存在するタンパク質 Y の発現を増強することで症状の改善をもたらす。

【ターゲットプロダクトプロファイル】

遺伝子 X の変異をホモ接合体で有する患者に対する核酸の外用剤、髄腔注射剤

【モダリティの設定】

核酸

【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) 患者細胞における遺伝子 X から発現するタンパク質 Y による UV 感受性の改善

以下のことが創薬プースター支援により明らかにされている。

1) 患者由来細胞への核酸の導入によるタンパク質 Y の発現と UV 感受性の改善

2) 患者由来細胞を用いた核酸により誘導されるタンパク質 Y の発現の分子機構の検証

【科学的、技術的な優位性】

PI は厚生労働省の本疾患に関する研究班の班長であり、病態の治療が可能な新規創薬コンセプトを提唱し、その特許も出願済である。

核酸の探索には、分担研究者である大阪大学 小比賀聡教授の新規核酸誘導体及びスクリーニングシステムを用いるという科学的優位性を有している。

【支援ステージにおける目標】

リード候補の核酸による POC in animal の取得

【関連特許】

公開番号：特開 2019-97423

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。