



DNW-21014 の概要

課題名 : 発達障害に対する新規治療薬の検証
主任研究者 (Principal Investigator) : 辻村 啓太
(国立大学法人東海国立大学機構名古屋大学大学院理学研究科)
ステージ : 標的検証前期

【標的疾患】

発達障害の一種

【創薬標的】

原因遺伝子産物であるタンパク質 X

【創薬コンセプト】

本発達障害の原因と考えられるタンパク質 X 遺伝子の異常機能亢進を回復させ、介在する miRNA-Y の減少及び Z シグナルを抑制させる。

【ターゲットプロダクトプロファイル】

本発達障害患者において、X 遺伝子の異常によって生じる神経機能の異常亢進を回復させる低分子化合物医薬品

【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) タンパク質 X の過剰発現により異常な miRNA-Y の産生が誘導される。
- 2) この内在性 miRNA-Y の発現を阻害することにより、タンパク質 X 発現異常ニューロンの表現型を改善できる。
- 3) 本発達障害のモデルマウス由来の培養神経細胞は、異常な神経突起伸長の亢進を示す。

【科学的、技術的な優位性】

- ・ 本発達障害の根治療法は存在せず、個別症状に対する対症療法のみが行われてい

る。したがって、本課題が目指す原因遺伝子に作用する治療薬が創製されれば、有用性が非常に高い。

- ・ PIらは世界に先駆けてタンパク質 X 下流の詳細メカニズムを明らかにしており、そのメカニズムを利用したスクリーニング系の作製などに強みを有している。
- ・ PIらは複数の本発達障害患者家族会より全面的な研究サポートを受けており、患者の直接的な協力を得ながら臨床研究に進むことが可能である。

【支援ステージにおける目標】

標的妥当性の検証及びエビデンスの蓄積

【関連特許】

無し

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。