



DNW-21018 の概要

課題名 : CAG リピートを標的とした siRNA によるポリグルタミン病治療法の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

佐橋 健太郎

(国立大学法人東海国立大学機構名古屋大学医学部附属病院)

ステージ: 標的検証前期

【標的疾患】

ポリグルタミン病 (球脊髄性筋萎縮症など)

【創薬標的】

mRNA

【創薬コンセプト】

異常ポリグルタミンタンパク質の産生に関わる mRNA の異常伸長 CAG 配列を標的とする siRNA を用いて、異常ポリグルタミンタンパク質の発現を抑制する。

【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。

球脊髄性筋萎縮症患者由来細胞およびヒトアンドロゲン受容体 (AR) トランスジェニックマウスにおいて、正常 AR の発現に比して、変異 AR である異常ポリグルタミンタンパク質の発現を選択的に抑制可能な siRNA を取得している。当該 siRNA は、ハンチントン病の原因となる異常ポリグルタミンタンパク質に対しても同様の抑制効果を示した。

【支援ステージにおける目標】

安定性、標的組織移行性、細胞移行性等が向上する改変 siRNA 誘導体を取得し、その有効性を確認する。

【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。