



DNW-22011 の概要

課題名 : ゲノム編集技術によるレット症候群治療法の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

伊藤 雅之 (国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター
神経研究所)

ステージ : 標的検証前期

【標的疾患】

レット症候群

【創薬標的】

Methyl-CpG-binding protein2 (MECP2) 遺伝子

【創薬コンセプト】

標的疾患の原因遺伝子のうち、不活化されている正常 MECP2 遺伝子を再活性化し、生理的な MECP2 発現により細胞活動を正常化し、症状を軽減させる。

【モダリティの設定】

遺伝子治療

【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) ゲノム編集技術により、ヒト正常線維芽細胞を用いて不活化 MECP2 遺伝子の発現回復を確認している。

【支援ステージにおける目標】

脱メチル化効率、転写回復率、発現回復率を指標として、これまで検討してきたゲノム編集技術を用いた遺伝子治療法と代替法の同等性を実用化に向けて検証する。

【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。