



## DNW-23001 の概要

課題名 : 廃用性筋萎縮の発症・進展抑制薬の探索  
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: 標的検証後期

### 【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が必要な患者等を対象に、安静開始前又は開始中に投与して、筋肉量の減少及び運動機能低下を抑制し、早期の離床と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】

- ・ 四肢の不動化により骨格筋で標的 X の発現が低下すること、また、標的 X が筋肉量制御に関わることを、世界に先駆けて見出した。
- ・ 不動化により筋肉量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

低下するという実験結果を得ており、本仮説はヒトでも一定程度の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ジング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。
- ・ 標的 X を薬剤で発現誘導できるマウスを作製している。

#### 【支援ステージにおける目標】

創薬コンセプトの妥当性が示され、次の支援ステージでの研究方針（HTS 系、対象疾患の選択等）が確定していること。

#### 【関連特許】

なし

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