



DNW-23010 の概要

課題名 : 神経変性疾患原因タンパク質の効率的な除去方法の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

稲野 将二郎 (公益財団法人田附興風会医学研究所腫瘍研究部)

ステージ : 標的検証後期

【標的疾患】

神経変性疾患 A

【創薬標的】

タンパク質 X

【創薬コンセプト】

PI 独自に開発した種々のタンパク質を特異的に分解する新規技術 Y を用いて、神経変性疾患 A の原因となるタンパク質 X を分解・除去する。

【ターゲットプロダクトプロファイル】

神経変性疾患 A の患者に、単回又は数年程度の間隔で、新規技術 Y を発現する担体の反復投与 (髄腔内又は静脈内投与を想定) を行う治療薬

【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) 新規技術 Y を用いて、標的となるタンパク質 X の分解・除去作用が *in vitro* で認められている。

【科学的、技術的な優位性】

新規技術 Y は PI 独自に開発されたものであり、同様の技術の報告は現在までのところ見られていない。

【支援ステージにおける目標】

in vitro 及び *in vivo* における POC 取得、並びに新規技術 Y の詳細な検討及びさらなる改良を行う。

【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