



## DNW-21017 の概要

課題名 : 筋萎縮性側索硬化症に対する非侵襲的な核酸医薬品の検証  
主任研究者 (Principal Investigator) :  
金沢 貴憲 (静岡県公立大学法人静岡県立大学薬学部)  
ステージ: 標的検証前期

### 【標的疾患】

筋萎縮性側索硬化症

### 【創薬標的】

スーパーオキシド・ジスムターゼ 1 遺伝子

### 【創薬コンセプト】

オリゴ核酸を経鼻投与し、中枢領域における疾患原因タンパクの発現を抑制する。

### 【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。

齧歯類において、血液脳関門透過性が高くない低分子化合物、siRNA 等をナノカプセルに含有させて経鼻投与し、それらが中枢移行したデータを取得している。また、その経鼻投与時に、三叉神経経路も經由して中枢移行するデータを齧歯類において取得している。

### 【支援ステージにおける目標】

投与方法の最適化と再現性確認を目標とする。加えて、齧歯類およびヒト以外の霊長類において、オリゴ核酸が経鼻投与により中枢移行して有効性を示すかについて、初期データを取得し検証する。

### 【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。