



DNW-22008 の概要

課題名 : SCA8 関連筋萎縮性側索硬化症に対する治療薬の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

平野 牧人 (学校法人近畿大学医学部)

ステージ : 標的検証前期

【標的疾患】

筋萎縮性側索硬化症 (ALS)

【創薬標的】

脊髄小脳失調症 8 型 (SCA8) 関連 ALS の原因異常遺伝子 X

【創薬コンセプト】

SCA8 関連 ALS の原因異常遺伝子 X の発現を siRNA (二本鎖 RNA) で抑制することにより病態の改善 (原因異常遺伝子 X の発現抑制) を図る。

【ターゲットプロダクトプロファイル】

ALS 発症早期並びに進行期の患者のうち、SCA8 原因遺伝子陽性と診断された患者に投与し、症状進行の抑制、更には症状を改善する。

【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。

- 1) PI らは孤発性 ALS の非翻訳領域反復配列解析から、全体の 3% に SCA8 の原因遺伝子異常を見出し、本邦で最も頻度の高い遺伝子異常の一つであることを報告した (Neurol Genet 2018;4(4):e252)。
- 2) その後、病理所見で確定した ALS 患者由来の検体本遺伝子異常を同定した。

【科学的、技術的な優位性】

- ・ SCA8 関連 ALS の中枢神経病理組織を得ている。
- ・ 健常者及び患者由来の iPS 細胞から運動ニューロン (iMN) への分化技術を確立している。

【支援ステージにおける目標】

- ・創薬に向けたアッセイ系の確立
- ・SCA8 関連 ALS の原因異常遺伝子 X の発現を抑制する siRNA の作製
- ・上記 siRNA の期待される治療効果の検討

【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。