



DNW-22010 の概要

課題名：自己ゲル化核酸を用いた長時間作用型ハンチントン病治療薬の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

西川 元也 (学校法人東京理科大学薬学部)

ステージ：標的検証前期

【標的疾患】

ハンチントン病

【創薬標的】

変異型ハンチントン mRNA

【創薬コンセプト】

局所投与されたアンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO) の脳内時空間動態を制御することにより、ASO によるハンチントン病治療効果の改善を図る。

【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。

自己ゲル化オリゴ核酸は、オリゴ核酸ユニットの徐放性と投与部位からの遠位送達性が期待でき、投与操作が容易である。また、ユニットへの修飾基付加が可能であり、修飾により、更に持続的放出と組織移行性を調整できると考えられる。

【科学的、技術的な優位性】

ASO 搭載自己ゲル化オリゴ核酸は、生分解性及び生体適合性に優れ、また、注射投与が可能で徐放機能を有するユニークなモダリティである。

【支援ステージにおける目標】

病態モデルマウスでの検討において、創薬標的への高いノックダウン効果を実証する。

【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。