



DNW-22012 の概要

課題名 : オプトジェネティック遺伝子を用いた網膜視細胞保護作用の検証
主任研究者 (Principal Investigator) :
富田 浩史 (国立大学法人岩手大学理工学部)
ステージ : 標的検証前期

【標的疾患】

網膜色素変性症 (RP)

【創薬標的】

視細胞

【創薬コンセプト】

視細胞に光受容クロライドチャンネル遺伝子を導入し発現させることにより、視細胞に対して毒性を持つ全トランス型レチナールの蓄積を阻害し、視細胞への毒性を軽減させる。また、光受容により視細胞は過分極し、正常な光受容反応を引き起こすことができ、視細胞の機能障害により生じる夜盲等の症状を改善できる。

【ターゲットプロダクトプロファイル】

RP 患者にアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターを用いて、光受容クロライドイオンチャンネル遺伝子を視細胞に単回導入する。

【モダリティの設定】

核酸、遺伝子搭載ウイルス

【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) 光受容クロライドチャンネル遺伝子の導入により、視細胞の過分極と全トランス型レチナールの蓄積阻害が期待できることに着目し、視細胞への遺伝子導入による視覚再生法を検討してきた。先行研究の光受容クロライドチャンネル遺伝子は光感受性に課題があったことから、より高感度で幅広い波長域に応答するよう遺伝子の改変を行った。

【科学的、技術的な優位性】

- ・現状では有効な治療法が存在しないためアンメット・メディカル・ニーズが高い網膜色素変性症に対して、独自にオプトジェネティック遺伝子である光受容クロライドイオンチャネル遺伝子の改変に成功している。網膜色素変性症患者の視細胞に遺伝子を導入することで、視細胞変性抑制効果と光受容反応の賦活化作用が期待できる。
- ・PI の研究室では視覚機能に対する効果を種々の方法で解析することが可能である（multifocal ERG（網膜電図）による機能解析、OCT（Optical Coherence Tomography（光干渉断層撮影））撮像等）。

【支援ステージにおける目標】

光受容クロライドイオンチャネル活性化による視覚機能の賦活化及び全トランス型レチナール蓄積による細胞毒性からの保護メカニズムの検証ができる。

【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。