



## DNW-22016 の概要

課題名 : エピジェネティクス制御に基づく新規貧血治療薬の検証  
主任研究者 (Principal Investigator) :  
五十嵐 和彦 (国立大学法人東北大学大学院医学系研究科)  
ステージ : 標的検証前期

### 【標的疾患】

難治性貧血

### 【創薬標的】

エピジェネティクス制御に関わるタンパク質 X

### 【創薬コンセプト】

標的タンパク質 X の活性を阻害することで赤血球の成熟 (クロマチン凝集～脱核) 及び造血を促進し、ESA や HIF-PH 阻害薬で十分な薬効が認められない難治性貧血の患者の症状を改善する。

### 【モダリティの設定】

低分子化合物等

### 【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) 標的タンパク質 X の活性を阻害するツール化合物をマウスに投与することにより、骨髄赤芽球の成熟が促進し、末梢血ヘモグロビン濃度が増加する。

### 【支援ステージにおける目標】

モデル動物を用いて難治性貧血に対する有効性を確認する。

関連因子の量的・質的变化と赤血球への分化との関係について検証する。

### 【関連特許】

関連特許出願済み

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。