



## DNW-23021 の概要

課題名 : 老化細胞による筋再生抑制阻害剤の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

山内 啓太郎 (国立大学法人東京大学大学院農学生命科学研究科)

ステージ: 標的検証後期

### 【標的疾患】

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)

### 【創薬標的】

老化細胞上に発現する分子 X

### 【創薬コンセプト】

老化細胞上に発現する筋再生の阻害因子となる分子 X に対する中和抗体を作製し、周囲の正常細胞の機能を維持させることで筋ジストロフィーを治療する。

### 【ターゲットプロダクトプロファイル】

筋ジストロフィーの確定診断を受けた患者に対し、薬剤を定期的に皮下投与又は静脈内投与することで、筋力低下及び筋量減少を抑止することが可能な治療薬

### 【モダリティの設定】

抗体

### 【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) ヒト DMD に類似した重篤な表現型を示す DMD ラットの骨格筋では、細胞老化という現象が生じていること及び老化細胞が筋再生の阻害因子になっていることを見出した。
- 2) 前記 DMD ラット老化細胞上において分子 X の発現が亢進していた。
- 3) DMD 患者の筋肉においても、p16 等の細胞老化に関連する因子の発現が上昇していることを確認した。

### 【科学的、技術的な優位性】

- 1) ヒト DMD の病態に類似した重篤な表現型を示す DMD ラットモデルの作製に成功し

た。

- 2) DMD ラットの病態モデルとしての優位性を利用し、DMD の病態悪化に細胞老化が関与することを世界で初めて見出した。
- 3) DMD 患者の筋肉においても、p16 等の細胞老化に関連する因子の発現が上昇していることを見出している。

**【支援ステージにおける目標】**

分子 X に対する中和抗体を用いた非臨床 POC の取得

**【関連特許】**

無し

テーマに関するお問い合わせは下記までお寄せください。

Principal investigator へのお問い合わせはご遠慮くださるようお願いいたします。

(問合せ先)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 創薬事業部

E-mail : id3desk@amed.go.jp