



## DNW-22026 の概要

課題名 : 神経変性疾患治療薬の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

瀬藤 光利 (国立大学法人浜松医科大学医学部/国際マスイメージングセンター)

ステージ: 標的検証前期

### 【標的疾患】

神経変性疾患

### 【創薬標的】

UBL3

### 【創薬コンセプト】

異常タンパク質の UBL3 化によるエクソソーム封入を制御することにより、その異常タンパク質を別の細胞に吸収・処理させる、又はその異常タンパク質の細胞間伝播を阻止する神経変性疾患の予防又は治療薬。

### 【モダリティの設定】

低分子化合物、天然化合物

### 【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。

- ・PI らは、エクソソームへの輸送を担う因子 UBL3 により、 $\alpha$ シヌクレイン、 $A\beta$ 等の神経変性疾患関連因子が UBL3 化されて細胞外に排出され、別の細胞に吸収・処理されるメカニズムを見出した。このメカニズムは神経変性疾患で蓄積される有害タンパク質の除去に働く可能性がある。

### 【科学的、技術的な優位性】

PI らは、エクソソームを介した輸送系をモニターする評価系をすでに確立している。

### 【支援ステージにおける目標】

*in vivo* 及び *in vitro* において、UBL3 と神経変性疾患との関連性を検証する。

**【関連特許】**

出願番号： PCT/JP2019/033323

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。