

**創薬基盤推進研究事業 研究開発課題
事後評価報告書**

事業名（年度）	創薬基盤推進研究事業（令和2年度～令和4年度）
研究開発課題名	妊娠中バルプロ酸暴露による自閉スペクトラム症を手がかりとした創薬標的研究
代表機関名	学校法人順天堂 順天堂大学
研究開発代表者名	伊藤 賢伸

総合評価：やや良い

【評価コメント】

自閉スペクトラム症に関連する変異遺伝子群とバルプロ酸による発現低下遺伝子群およびジゴキシンによる発現上昇遺伝子群が有意に重なっていることに基づき、ジゴキシンの神経系への作用の標的蛋白質を探索することで、自閉症治療薬の開発を目指す研究を進めた。

バルプロ酸暴露による多動モデルおよび social interaction 評価系を作成しジゴキシンの効果を評価したが、ジゴキシンの生殖毒性による実験上の制約もあり、計画の一部が未達であった。また、in vitro における標的蛋白質候補を見いだしたが、過剰発現系、ノックダウンによる検証にまでは至っておらず、計画どおりに進捗していなかった。今後は、ツールとしてジゴキシン類以外の他のツール候補も含めて広く検討することを望む。

以上