



## DNW-24003 の概要

課題名 : 新規ミトコンドリア賦活薬の検証  
主任研究者 (Principal Investigator) :  
柳 茂 (学校法人学習院学習院大学理学部)  
ステージ: 標的検証前期

### 【標的疾患】

ミトコンドリアが関連する疾患 (今後選定予定)

### 【創薬標的】

MITOL (Mitochondrial ubiquitin ligase)

### 【創薬コンセプト】

ミトコンドリアに発現する新規 E3 リガーゼ MITOL の発現を亢進することによって、ミトコンドリア機能の多角的活性化や、小胞体ストレス抑制、NO 傷害の抑制、変性蛋白除去等によって疾患を治療する薬剤を創出する。

### 【モダリティの設定】

低分子化合物

### 【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。

- 1) PI 独自に発見した MITOL が、多角的にミトコンドリア機能を活性化することを明らかにした。
- 2) MITOL は加齢や種々の疾患で発現量が減少するが、それによって老化兆候の促進や、種々の臓器障害の亢進が起こることを見出した。
- 3) MITOL の発現を亢進する化合物 A を種々の疾患モデル等に投与すると、症状の改善効果を示すことを確認した。

### 【科学的、技術的な優位性】

PI は MITOL を独自に見出し、経口投与でその発現亢進作用を有する低分子の獲得にも成功している。また、MITOL の発現亢進をモニターする HTS 用スクリーニング系のプロトタイプを、既に独自に構築できている。

**【支援ステージにおける目標】**

化合物 A のリード化合物としての課題の把握と HTS 系構築の見通しがつくことによって、MITOL 発現亢進薬の探索方針を決定する。

**【関連特許】**

化合物 A の用途特許等を出願中

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](mailto:id3desk@amed.go.jp)