



DNW-25016 の概要

課題名： 膵がん治療のための Rho ファミリーGTPase とその共役分子阻害剤の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

南 康博 (国立大学法人神戸大学大学院医学研究科)

ステージ： 検証ステージ I

【標的疾患】

膵がん

【創薬標的】

Rho ファミリーGTPase の一種であるタンパク質 X 又はその共役分子

【創薬コンセプト】

タンパク質 X 又はその共役分子の機能を阻害し、ミトコンドリア機能低下（ワールブルグ効果）、フェロトーシス耐性亢進等を抑制することにより、アンメットメディカルニーズが高い膵がんに対して効果を示す治療薬を創生する。

【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) タンパク質 X がその制御分子・共役分子と連動し、ミトコンドリア機能低下、フェロトーシスに対する耐性獲得等において重要な役割を担うことを明らかにしている。
- 2) タンパク質 X をノックアウトすることにより、膵がん細胞の増殖・進展が顕著に阻害されることを明らかにしている。
- 3) タンパク質 X のノックアウトマウスは妊性があり、外見上は明らかな表現型の異常はなく、健康で生存上問題がないことが報告されていることから、タンパク質 X

が膵がんの創薬標的として有用であると想定される。

【科学的、技術的な優位性】

PI 自らが見出した新規メカニズムに立脚した新規性・独創性が高い課題である。

【支援ステージにおける目標】

- 1) タンパク質 X 又はその共役分子に作用（阻害）することが膵がん治療に有効であることを検証する。
- 2) 臨床的・病理学的ステージが異なるヒト臨床検体（膵がんオルガノイドやホルマリン固定パラフィン包埋（FFPE）検体）を用いた免疫組織化学解析により、膵がん病巣部やがん周囲組織におけるタンパク質 X の発現量及び細胞内局在について解析する。

【関連特許】

なし

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