



DNW-25002 の概要

課題名 : 非環状型人工核酸を用いた新規 ADPKD 治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

神谷 由紀子 (学校法人神戸薬科大学薬学部)

ステージ : 検証ステージ II

【標的疾患】

常染色体優性多発性嚢胞腎 (ADPKD)

【創薬標的】

分子 X

【創薬コンセプト】

ADPKD の病態に関与することが想定される標的分子 X の機能を阻害する核酸に非環状型人工核酸を導入し、腎臓及び肝臓における嚢胞化による腫大、機能低下を抑制し、透析・腎臓移植を回避する治療薬を創製する。

【ターゲットプロダクトプロファイル】

単剤、若しくはトルバプタンとの併用で、ADPKD における腎臓及び肝臓の嚢胞化、機能低下を抑制し、透析・腎臓移植を回避する治療薬。

【モダリティの設定】

核酸

【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 により明らかにされている。

- 1) 分担研究者らと共に開発した非環状型人工核酸を基盤に分子 X の機能を阻害する核酸分子を作製し、ADPKD モデルマウス (pcy マウス) や ADPKD 患者の腎細胞での有効性を確認している。

【科学的、技術的な優位性】

PI は、既存のリボース型人工核酸よりも優れた特性を示すことが期待される非環状型人工核酸を開発し、これを用いて pcy マウスや ADPKD 患者の腎細胞で有効性を示す核酸分子を作製している。

【支援ステージにおける目標】

作製した核酸分子の有用性、あるいは改善ポイントを見出す。

【関連特許】

- ・ 国際出願 PCT/JP2022/047371：アミダイトモノマー（2022 年 12 月 22 日出願）特願 2023-575155 国際公開 WO2023-140040
- ・ 国際出願 PCT/JP2021/003332：一本鎖ポリヌクレオチド（2021 年 1 月 29 日出願）特願 2021-574710 国際公開 WO2021/153762
- ・ 特願 2015-149522, 特開 2016-130232、特許 6704196：オリゴヌクレオチド（2015 年 9 月 29 日出願）

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