



DNW-21007 の概要

課題名 : 急性骨髄性白血病の新規分化誘導治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

松尾 英将 (国立大学法人京都大学大学院医学研究科)

ステージ: スクリーニング

【標的疾患】

急性骨髄性白血病 (AML)

【創薬標的】

分子 X

【創薬コンセプト】

分子 X は、PI が独自に同定した AML 細胞を単球 (正常血液細胞の一種) へと分化誘導するために必須の分子である。本分子の発現は AML 細胞で抑制されており、分子 X の発現を誘導することで AML 細胞の分化を誘導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】

AML 細胞に対して単球への分化誘導作用を発揮する分子 X 活性化薬であり、従来の殺細胞性抗がん剤より忍容性に優れ、ドライバー遺伝子の変異種によらず、広く病型への有効性を発揮する AML 治療薬

【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) AML 細胞に分子 X を高発現させることにより、*in vitro/in vivo* において、AML 細胞が単球へ分化誘導され、抗腫瘍効果を発揮した。
- 2) 単球に分化した細胞は再度白血病細胞化せず、速やかに死滅した。
- 3) 種々の血液腫瘍の分類法 (FAB 分類) の AML 細胞株において、同様の抗腫瘍効果を確認した。

【科学的、技術的な優位性】

PI らは AML 細胞を単球へ分化誘導するために必須の分子 X を独自に見出し、AML 細胞の分化を促進する治療薬創製を展開している。分子 X 活性化薬は、殺細胞性の治療薬に比べて忍容性に優れ、ドライバー遺伝子変異の種類によらず幅広い病型への有効性を発揮する革新的薬剤となることが期待される。

【支援ステージにおける目標】

分子 X を特異的に活性化し、抗腫瘍効果を発揮する化合物がスクリーニングにより取得される。

【関連特許】

なし

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。