



DNW-26012 の概要

課題名 : シャルコー・マリー・トゥース病 2 型に対する新規治療法の検証
主任研究者 (Principal Investigator) :
村田 等 (国立大学法人岡山大学学術研究院医歯薬学域)
ステージ: 検証ステージ I

【標的疾患】

シャルコー・マリー・トゥース病 2 型 (CMT2)

【創薬標的】

Mitofusin-2 (MFN2)

【創薬コンセプト】

CMT2 における MFN2 変異タンパク質の凝集体の形成を抑制し、分解を促進することにより、運動機能障害及び感覚機能障害を改善する治療薬を創出する。

【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 により明らかにされている。

- 1) CMT2 原因遺伝子由来の変異タンパク質を発現させた細胞において、不溶性の凝集体が形成され、軸索変性や細胞死が誘導される。
- 2) 変異タンパク質の凝集体の形成を抑制し、分解を促進することで細胞の生存率が改善する。

【科学的、技術的な優位性】

CMT2 原因遺伝子由来の変異タンパク質の凝集体形成を抑制し、分解を促進する因子を見出している。

【支援ステージにおける目標】

MFN2 変異 CMT2 患者由来の iPS 細胞をニューロンに分化誘導し、変異タンパク質の凝集体の形成を確認するとともにツール化合物により創薬コンセプトを検証する。

【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