



DNW-26021 の概要

課題名： 高効率触媒的標的 RNA 切断機能付与型キメラ人工核酸を用いた抗癌剤の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

和田 健彦 (国立大学法人東北大学未来科学技術共同研究センター)

ステージ： 検証ステージ I

【標的疾患】

血液がん

【創薬標的】

タンパク質 X

【創薬コンセプト】

タンパク質 X の生合成を阻害するアンチセンス核酸 (ASO) を探索し、血液がんに対して効果を示す治療薬を創製する。

【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 らにより明らかにされている。

- 1) 新規人工核酸 (Chimeric Artificial Nucleic Acid : CANA) は、アミド骨格人工核酸と DNA がタンデムに融合した ASO であり、従来の ASO と比較して飛躍的な mRNA 切断効果の向上を実現した。
- 2) CANA は、肝毒性などの安全性の観点からも改善を示唆するデータが取得されており、主活性と安全性の両面から期待される。
- 3) タンパク質 X の創薬標的としての妥当性は検証済みである。

【科学的、技術的な優位性】

PI 自らが開発した CANA を用いた核酸創薬研究であり、新規性・独創性が高い。

【支援ステージにおける目標】

- 1) 従来の ASO との比較検証を実施し、創薬の観点から新規核酸モダリティとしての

優位性を示すデータを取得する。

2) 薬物動態に関する情報を取得し、改善に向けた方策を策定する。

【関連特許】

関連特許、特許出願あり

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