



DNW-26003 の概要

課題名 : タンパク質分解機構 GOMED 誘導化合物を用いた適応症探索
主任研究者 (Principal Investigator) :
清水 重臣 (国立大学法人東京科学大学総合研究院高等研究府)
ステージ: 検証ステージII

【標的疾患】

神経変性疾患

【創薬標的】

標的分子 X

【創薬コンセプト】

標的分子 X に結合することで、Golgi-membrane-associated degradation (GOMED) を誘導し、神経細胞内でのタンパク質凝集体の蓄積を抑制し、病態の進行を遅延させる薬剤の創出

【ターゲットプロダクトプロファイル】

診断基準を満たす患者を対象に経口による投与を開始し、症状進行を遅らせる。

【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) GOMED は PI が発見した新しいタンパク質分解機構

以下のことが創薬ブースター支援により明らかにされている。

1) DNW-18003 による支援を通じ、新規オートファジーを活性化する化合物を見だし、その標的分子 X の同定に成功

2) DNW-22001 による支援を通じ、標的分子 X に対する化合物スクリーニング系を構築し、リード化合物を取得

【科学的、技術的な優位性】

標的メカニズムが、PI オリジナルなメカニズムであり、標的分子 X もこれまで創薬研

究の対象となっていない。

【支援ステージにおける目標】

神経変性進行抑制薬としてのデータパッケージを揃え、企業導出する。

【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