



DNW-23018 の概要

課題名 : ラミン心筋症に対する新規核酸治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

新谷 泰範 (国立研究開発法人国立循環器病研究センター研究所)

ステージ : 標的検証後期

【標的疾患】

ラミン心筋症

【創薬標的】

原因分子 X

【創薬コンセプト】

分子 X に作用する新規核酸により、疾患原因タンパク質の発現を抑制し、心機能低下、心不全増悪及び突然死を予防し、予後を改善する革新的治療薬を創出する。

【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) PI は心筋細胞に存在する分子 X のラミン心筋症への関与を、細胞及び動物実験を通じて独自に見出した。
- 2) 分子 X に対して作用する核酸の配列候補を見出している。

【支援ステージにおける目標】

in vitro 及び *in vivo* 評価を通じて分子 X に作用する核酸を至適化した後、薬効を示し、薬物動態及び安全性にも優れた核酸を探索する。開発上の大きなリスクが見出されない場合は、企業への導出活動を行う。

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。