



DNW-25001 の概要

課題名 : リpeat伸長病に対する新規創薬モダリティの検証
主任研究者 (Principal Investigator) :
塩田 倫史 (国立大学法人熊本大学発生医学研究所)
ステージ : 検証ステージ I

【標的疾患】

ハンチントン病、C9ALS/FTD 等のリpeat伸長病

【創薬標的】

DNA リpeat配列

【創薬コンセプト】

ピロール-イミダゾール ポリアミド (PIP) が伸長アレル DNA に優先的に直接結合し、伸長 DNA リpeat由来の異常 RNA 産生を阻害することで運動機能の低下や神経変性を抑制する

【モダリティの設定】

ピロール-イミダゾール ポリアミド (中分子化合物)

【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) CAG/CTG リpeat DNA を標的として作製した PIP 化合物は、ドラッグデリバリーシステム不要で優れた核内移行性を示し、リpeat長依存的・配列特異的に DNA に対して高い結合能を示した。また細胞毒性は低く、有意なオフターゲット効果は認められていない。

【支援ステージにおける目標】

薬効を期待できる程度の PIP の脳移行性が確認できること

【関連特許】

- ・リピート結合剤 WO2021261592A1

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。