



DNW-26027 の概要

課題名 : 多発腫瘍を有する遺伝性疾患・神経線維腫症 2 型に対する治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

田村 亮太 (学校法人慶應義塾 慶應義塾大学 医学部)

ステージ: 検証ステージ II

【標的疾患】

神経線維腫症 2 型の多発神経鞘腫及び手術困難な孤発性神経鞘腫

【創薬標的】

Schwannoma 細胞

【創薬コンセプト】

Schwann 細胞/Schwannoma 細胞に特異的なプロモーター、細胞周期依存的に細胞死を誘導する融合遺伝子を搭載したアデノ随伴ウイルス (AAV) により、Schwannoma 細胞に細胞死を誘導する。

【ターゲットプロダクトプロフィール】

神経線維腫症 2 型の多発神経鞘腫及び手術困難な孤発性神経鞘腫を有する患者を対象に、静脈内投与や髄腔内投与の遺伝子治療 (孤発性患者は局所投与も想定) により腫瘍を縮小させ、熟練した手技への依存度が非常に高い摘出手術を回避し、放射線治療の機会を拡げることにも寄与する。

【モダリティの設定】

遺伝子治療

【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) 独自に開発した融合遺伝子を搭載した AAV が、Hela 細胞株及び Schwannoma 細胞株に対して細胞周期依存的な細胞死を誘導することを示した。

【科学的、技術的な優位性】

増殖性の Schwannoma 細胞のみ細胞死誘導を狙う研究は独自性がある。また、Schwannoma モデルマウスを構築済みであり、他施設では難しい Schwannoma 患者由来の組織検体を使用した検証が可能である。

【支援ステージにおける目標】

Schwannoma モデルマウスで独自に開発した融合遺伝子を搭載した AAV の抗腫瘍効果を確認する。

【関連特許】

出願番号：特願 2025- 85898

発明の名称：融合タンパク質、融合核酸、組換えベクター、及びその利用

出願日：2025 年 5 月 22 日

出願人：学校法人慶應義塾

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