



DNW-26036 の概要

課題名 : メチルマロン酸血症に対する新規治療法の検証

主任研究者 (Principal Investigator) :

野口 幸希 (学校法人慶應義塾 慶應義塾大学 薬学部)

ステージ: 検証ステージ I

【標的疾患】

メチルマロン酸血症

【創薬標的】

メチルマロン酸動態制御分子 X

【創薬コンセプト】

メチルマロン酸の動態制御分子 X を標的とし、メチルマロン酸の排泄促進と組織への蓄積抑制により、「血中濃度低減による急性発作の抑制」と、「組織負荷の低減による臓器保護」を同時に実現する。

【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 により明らかにされている。

- 1) 独自の解析から、メチルマロン酸の体内動態の制御に関与する分子 X を同定している。
- 2) 分子 X に対して阻害作用を有する既知ツール物質を用いた動物実験を実施し、標的分子の機能阻害によりメチルマロン酸の体内負荷が軽減することを示した。

【科学的、技術的な優位性】

- 独自の解析から、メチルマロン酸の動態制御に重要な役割果たす創薬標的分子 X を選定し、同分子の制御による治療という、既存治療と異なる新規かつ独創的アプローチを提唱した。
- 分子 X が他の有機酸の動態制御にも重要な役割を果たす可能性があり、体内動態制御に基づく代謝疾患治療という新たなパラダイムの創出につながることを期待される。

【支援ステージにおける目標】

独自の検討から選定した分子 X について、メチルマロン酸血症治療薬の創薬標的としての妥当性を検証する。

【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