



DNW-26032 の概要

課題名 : 多発性軟骨性外骨腫症に対する骨・軟骨特異的新規治療薬の探索

主任研究者 (Principal Investigator) :

野澤 聡 (国立大学法人東海国立大学機構 岐阜大学 大学院医学系研究科)

ステージ: 検証ステージⅡ

【標的疾患】

多発性軟骨性外骨腫症 (遺伝性多発性外骨腫: multiple hereditary exostosis)

【創薬標的】

ヘパラン硫酸の発現量が低下している骨・軟骨組織

【創薬コンセプト】

多発性軟骨性外骨腫症の多くは、骨・軟骨組織における EXT1 あるいは EXT2 遺伝子の Loss of heterozygosity により、ヘパラン硫酸の発現が局所で低下し腫瘍が引き起こされる。PI らは、「新規治療薬 X を骨・軟骨に特異的に送達させることで多発性軟骨性外骨腫症の表現型を改善させられる可能性がある」と考え新規治療薬 X の探索を進めている。

【モダリティの設定】

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) 多発性軟骨性外骨腫症のモデルマウスの一つである“Ext1 ヘテロマウス”は骨量低下を呈するが、そのマウスに新規治療薬 X の全身投与を行うと骨量が有意に増加する。

【科学的、技術的な優位性】

新規治療薬 X は、特定の標的分子に対する外因性の阻害薬ではなく、補充療法に分類されるものである。そのため、将来的に乳児・小児から継続的に長期間投与を行うことになっても、有害事象の発現は低頻度になると考えている。

【支援ステージにおける目標】

多発性軟骨性外骨腫症と似た表現型を呈する複数のモデルマウスに新規治療薬 X を投与し、表現型（外骨腫や骨長短縮）を改善させること。

【関連特許】

関連特許出願あり

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