



DNW-25001 の概要

課題名 : リピート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 等のリピート伸長病

【創薬標的】

DNA リピート配列

【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 リピート由来の異常 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 により明らかにされている。

- 1) CAG/CTG リピート 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、リピート長依存的・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

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