



研究代表者

東京農工大学 寺 正行 Tera Masayuki

採択テーマ

遺伝子構造を標的とする低分子創薬の基盤技術の
社会実装に向けた医薬品開発

課題名

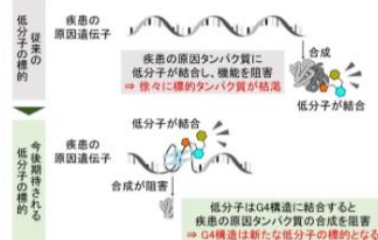
遺伝子構造を標的とする低分子創薬の基盤技術の社会実装に向けた医薬品開発

プロジェクトの概要

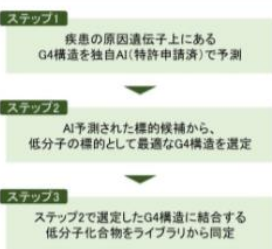
ビジョン: 低分子医薬品に新たな標的を創出し、医療格差を是正する

疾患の原因遺伝子上の「G4構造」に低分子が結合すると、疾患の原因タンパク質の合成が阻害される。低分子の強みである「安価」かつ「在宅医療」の実現を通じ、医療格差を是正したい

なぜG4構造が低分子の新たな標的となるのか



G4構造を標的とする低分子を見つける基盤技術



疾患の原因遺伝子上にあるグアニン四重鎖構造（以下、G4構造）の位置を独自AIシステムで予測する（図中、ステップ1）。予測されたG4構造の中から、低分子の標的として最適なG4構造を選び（ステップ2）、これに結合する低分子化合物を見つける（ステップ3）基盤技術を有する。なお低分子化合物はG4構造と結合することで、疾患の原因タンパク質の合成を阻害する効果を見込む。

当該基盤技術を用いて見つけた第1パイプライン：白血病治療薬を開発する。現在までに白血病の原因遺伝子上にあるG4構造の中から、低分子化合物の標的として最適なG4構造を特定し（ステップ1完了）、これに結合するヒット化合物を複数取得している（ステップ2に相当）。

ビジネスモデル（申請時）

複数の製薬会社などと提携し、基盤技術を活用したパイプラインの共同開発を目指す。基盤技術の価値を実証する目的で、第1パイプラインは臨床PoC（Proof of Concept）まで自社開発し、その後、製薬会社へ導出する。

活動計画（申請時）

- ・ヒット化合物をより効率的に探すため、基盤技術を強化
 - ・ヒット化合物を構造展開し、リード化合物を獲得
 - ・リード化合物の有効性/安全性の確認
 - ・グローバルに事業開発を展開し、基盤技術の提携先を探索
- 必要知財の強化