

# 核酸標的の低分子創薬基盤技術開発

Development of research tools and molecules accelerating research toward small-molecule drugs targeting nucleic acids



中谷 和彦  
K. Nakatani

## キーワード Keyword

低分子、核酸、DNA、RNA、創薬  
small molecule, nucleic acids, DNA, RNA, drug development

## 応用分野 Application

創薬リード創出、スクリーニング技術  
drug lead development, screening technology

## 目的・期待される効果

- 核酸を標的とした低分子創薬開発
- 企業における核酸標的の低分子創薬の加速、参入障壁低減



## 研究内容

### 背景

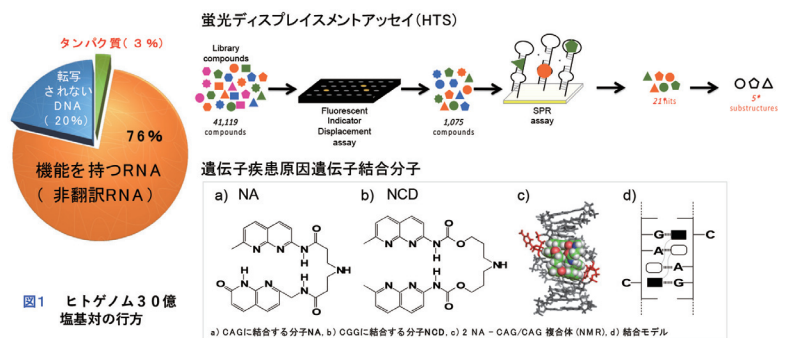
ヒトゲノムの3/4を占める非翻訳RNAなど、機能を有する核酸を標的とした低分子創薬に大きな期待が寄せられています。欧米での研究速度に負けない企業での創薬研究の加速を支援します。

### 技術概要

- 1) HTS対応蛍光ディスプレイメントアッセイ
- 2) 疾病関連DNA、RNA結合分子開発技術
- 3) 創薬候補低分子に結合するRNAの探索

### 特長

- 1) 標的を標識せずに、化合物ライブラリーを混ぜるだけの簡便な「蛍光ディスプレイメントアッセイ」。既に創薬企業2社が採用。
- 2) 世界で唯一無二のハンチントン病 (CAGリピート)、脆弱X症候群 (CGGリピート) 結合分子開発実績。



### 論文 Paper

- [1] Scanning of guanine-guanine mismatches in DNA by synthetic ligands using surface plasmon resonance assay, Nakatani, K.; Sando, S.; Saito, I. Nat. Biotechnol. 2001, 19, 51–55.
- [2] Small-molecule ligand induces nucleotide flipping in (CAG)<sub>n</sub> trinucleotide repeats, Nakatani, K.; Hagihara, S.; Goto, Y.; Kobori, A.; Hagihara, M.; Hayashi, G.; Kyo, M.; Nomura, M.; Mishima, M.; Kojima, C. Nature Chemical Biology 2005, 1, 39-43

### 特許 Patent

- [1] PCT/IB2017/054932 (平成29年8月12日) 他