

核酸標的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

研究分野
Department

精密制御化学
Regulatory Bioorganic Chemistry

研究者
Researcher

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

研究開発段階

基礎

実用化準備

応用化

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。欧米の研究速度に負けない、創薬研究の加速を支援します。

概要・特徴

- 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。
- 表面プラズモン共鳴 (SPR) を使った、標的DNA・RNA結合分子の探索技術
- 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

技術内容

- 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結合分子探索・開発技術
- 3) 創薬候補低分子に結合するRNAの探索

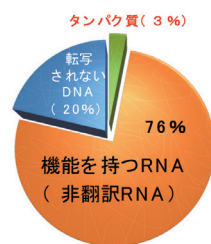
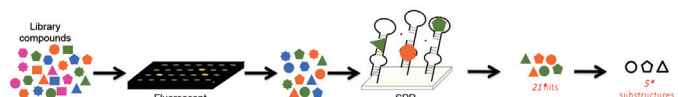
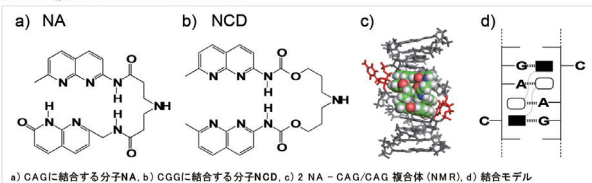


図1 ヒトゲノム30億塩基対の行方

蛍光ディスプレイメントアッセイ (HTS)



遺伝子疾患原因遺伝子結合分子



社会への影響・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低分子創薬の加速、参入障壁低減

【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)_n 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