

異所性骨化の予防・治療剤

ライセンス契約を受けていただき 本発明の実用化を目指していただける企業様を求めます。

進行性骨化性線維異形成症（FOP）による異所性骨化の予防・治療薬候補として、チプラクスチニン及びガラルジンを見出しました。

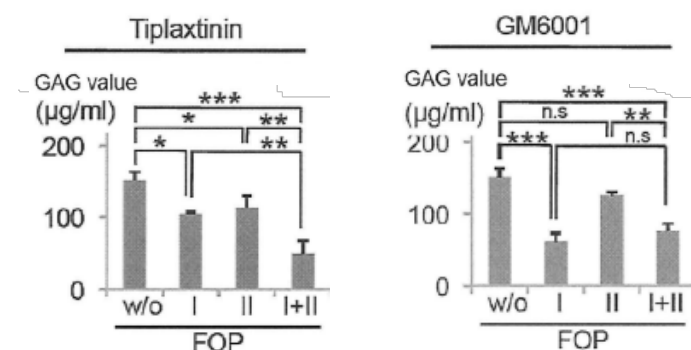
◆背景

FOPは、本来骨形成が起きない組織において骨形成が認められ（異所性骨化）、重篤な障害や致命的な呼吸器不全を生じる遺伝性の難病です。FOPにおける異所性骨化を抑制する薬剤の開発が世界中で行われていますが、現時点ではまだ根本治療薬はありません。

◆発明概要と利点

本発明者らは、FOP患者由来iPS細胞（FOP-iPSC）において、遺伝子修復技術を適用することにより、遺伝的バックグラウンドは同一で突然変異のみが修復されたiPS細胞（resFOP-iPSC）を作製することに成功しました。これらの細胞由来の各種細胞の遺伝子発現プロファイルを比較することにより、いくつかのシグナル伝達経路に分類される遺伝子群について両者間で違いが観察されました。これらのシグナル伝達経路の阻害剤のうち、チプラクスチニン（Tiplaxtinin、PAI1阻害剤）及びガラルジン（GM6001、MMP1阻害剤）によりFOP-iPSC由来神経堤細胞において軟骨組織の過剰形成が抑制されることを見出しました。

Tiplaxtinin及びGM6001は、phase I及びphase I+IIの段階で添加した場合において、FOP-MSCにおける軟骨誘導を減少させました（下図参照）。



GAG value : 軟骨組織を構成する細胞外マトリックス成分であるグリコサミノグリカン（GAG）の量、I : 神経堤細胞から間葉系幹細胞を誘導する工程に添加、II : 間葉系幹細胞から軟骨を分化する工程に添加、I+II : 工程I及びII両方に添加

FOP患者における異所性骨化は、まず軟骨が形成され、その後骨に置き換わる軟骨内骨化により引き起こされることから、本発明で見出した軟骨形成を抑制する効果のある薬剤は、異所性骨化の治療に有用であると考えられます。

◆開発段階

患者由来iPS細胞を用いて in vitro で評価済み

◆適応分野

治療薬

◆特許権

特許第6673586号

「異所性骨化の予防・治療剤及びそのスクリーニング方法」

出願人：国立大学法人京都大学

◆希望の連携形態

- ・ 実施許諾契約
- ・ オプション契約

◆お問い合わせ先

京都大学産学連携担当
株式会社TLO京都

〒606-8501
京都市左京区吉田本町
京都大学国際科学イノベーション棟3F
(075)753-9150
licensing_ku@tlo-kyoto.co.jp

