

L-アルギニン

～PolyQ病治療剤への応用～

発明のポイント

ポリグルタミン病 (PolyQ病) の原因となるポリグルタミンタンパク質の凝集に対し、L-アルギニンに高い抑制効果を確認

→ PolyQ病治療剤として、L-アルギニンの医師主導治験を実施中

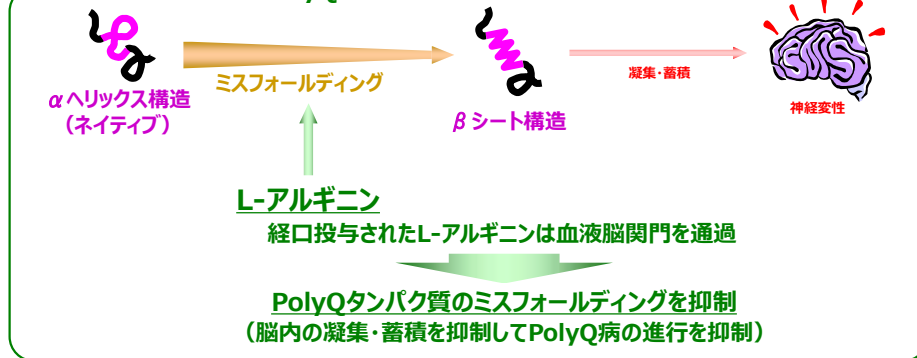
【異常タンパク質による神経変性疾患発症メカニズム】



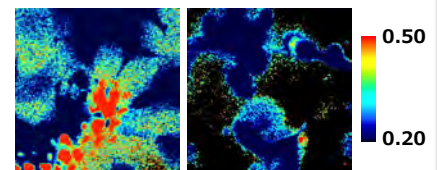
発明の概要

L-アルギニン: PolyQタンパク質のミスフォールディングを抑制し、脳内での凝集・蓄積を減少

【L-アルギニンによるPolyQ病発症抑制メカニズム】



L-アルギニンによる
PolyQタンパク質凝集・蓄積抑制効果



蛍光タンパクによるCOS-7細胞の様子
(左: 無処理, 右: L-アルギニン処理後)

L-アルギニン処理により、
タンパク質の蓄積が減少

Brain 2020, 143, 1811-1825

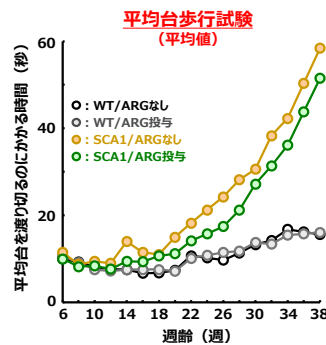
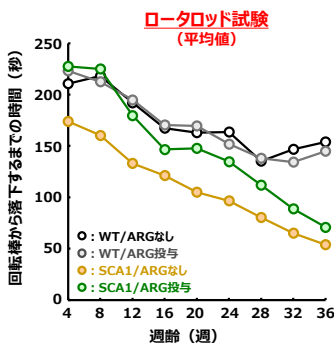
Brain 2020, 143, 1811-1825

発明の効果

PolyQ病に対する効果 (マウスを用いた試験)

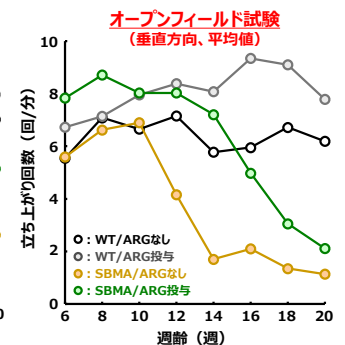
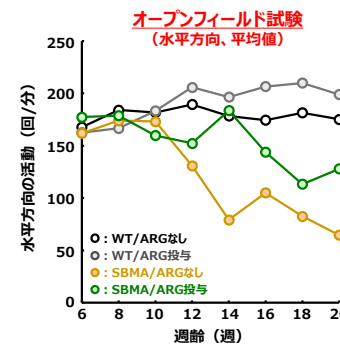
- ・ 遺伝性脊髄小脳失調症1型 (SCA1) : 緩徐進行性の小脳性運動失調で、歩行時のふらつきや構音障害などの主症状あり
- ・ 球脊髄性筋萎縮症 (SBMA) : 筋肉を動かすための神経が徐々に減少する神経疾患で、筋肉が痩せるなどの症状あり

【SCA1マウスに対する効果】



両試験において、L-アルギニン投与SCA1マウスは、
無投与SCA1マウスに比べ、運動能力の改善を確認

【SBMAマウスに対する効果】



両試験において、L-アルギニン投与SBMAマウスは、
無投与SBMAマウスに比べ、運動能力の改善を確認

想定される用途

- ◎ 新規PolyQ病治療剤 (進行抑制剤) としての利用
- ◎ 他の神経変性疾患の治療剤 (進行抑制剤) への応用

代表発明者:

永井 義隆
(近畿大学・教授)

共同発明者:

皆川 栄子
(京都大学・特定助教) 他

ライセンス可能な特許

発明の名称 : 医薬品組成物
国際公開番号 : WO2017222040
連絡先 : JST知的財産マネジメント推進部 ライセンス担当
電話) 03-5214-8486
メール) license@jst.go.jp
URL) www.jst.go.jp/chizai/

