

研究題目 小胞体ストレスを中枢性尿崩症の標的とした治療法開発研究

研究組織

研究代表者：有馬 寛（名古屋大学大学院医学系研究科糖尿病・内分泌内科学）

共同研究者：親泊 政一（徳島大学先端酵素学研究所）

下記により、研究リソース（☒共同利用・☐共同研究）を実施したので報告します。

【1】研究の概要

[1-1]本研究の目的・概要

小胞体ストレスを緩和する化学シャペロンとして eLife 8, e43302 (2019) で報告した IBT21 の誘導体が、中枢性尿崩症の治療薬として機能するかを、名古屋大学で樹立した家族性中枢性尿崩症モデルマウスで検証を行う。それに必要な IBT21 の誘導体を輸送する。それに必要な IBT21 の誘導体を徳島大学から名古屋大学に供与する。

【2】研究成果

[2-1]本共同研究で明らかになった研究成果

家族性中枢尿崩症モデルマウス由来の iPSC から生成されたバソプレッシンニューロンに対して、IBT21 が化学的シャペロンとして保護作用を持つことを示せたので、下記の論文発表を行った。

Simplified drug efficacy evaluation system for vasopressin neurodegenerative disease using mouse disease-specific induced pluripotent stem cells.

Miwata T, Suga H, Mitsumoto K, Zhang J, Hamada Y, Sakakibara M, Soen M, Ozaki H, Asano T, Miyata T, Kawaguchi Y, Yasuda Y, Kobayashi T, Sugiyama M, Onoue T, Hagiwara D, Iwama S, Oyadomari S, Arima H.

Peptides. 2024; 173:1 71151

[2-2]本共同研究による波及効果及び今後の発展性

本共同研究は、家族性中枢尿崩症モデルマウスにおける IBT21 の誘導体の有効性を確認し、その波及効果として、病態理解の進展や新たな治療法の開発に貢献する可能性がある。

【3】今後の課題等

今後の課題には、IBT21 の誘導体の最適な用量や用法の特定、長期的な安全性と有効性の確認、さらには臨床試験に向けた詳細な毒性試験を実施する必要がある。