研究テーマ 酵素の構造安定化を基盤とした希少疾患克服の試み

所属 附属病院薬剤部

教授・薬剤部長 加藤 敦
https://researchmap.jp/read0054375

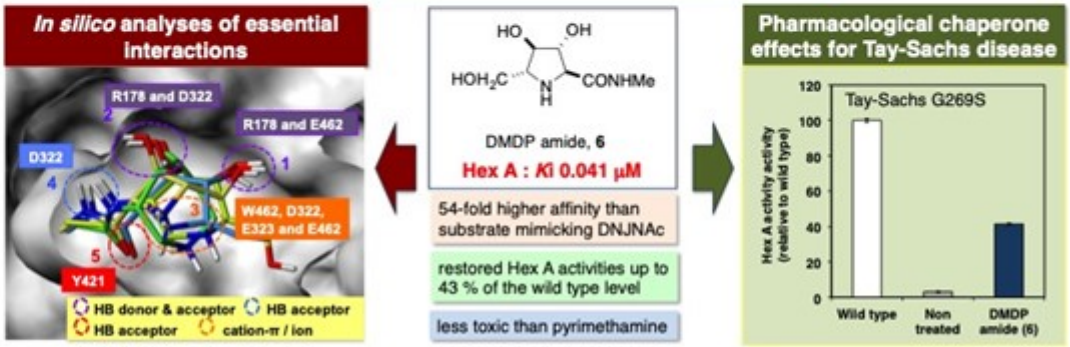
研究分野	糖質生化学、糖鎖生物学、天然物化学
キーワード	リソソーム病、イミノ糖、希少疾患、オーファンドラッグ、シャペロン

研究室URL： http://www.hosp.u-toyama.ac.jp/pharmacy/research/

研究の背景および目的

現在、リソソーム病に対する治療法として酵素補充療法が実用化されていますが、高濃度の精製酵素を点滴静注することから抗体産生による拒絶や副作用の問題が指摘されています。私たちの研究室では標的蛋白質の立体構造に基づいた医薬分子設計、糖質生化学、創薬化学の研究手法を駆使して、ミューテーション部位に応じた「最適な低分子シャペロン」を創製し、ゴーシェ病、ポンペ病、テイ=サックス病など新しい治療薬の開発を待ち望んでいる患者さんに革新的な新薬を届けることを使命としています。

■主な研究内容



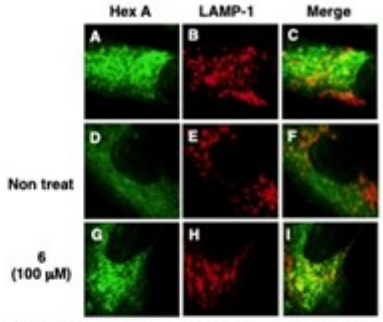


Figure. Immunocytochemistry of Hex A in Tay-Sachs G269S

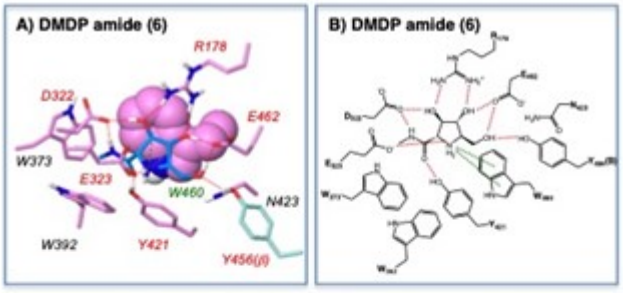


Figure Schematic diagram of hydrogen bonding interactions and cation - π interactions between Hex A and DMDP amide.

期待される効果・応用分野

近年、「酵素補充療法」を支援する新たな方策として、酵素安定化作用を持つ低分子化合物を用いた「シャペロン療法」が実用化され、2018年5月にファブリー病治療剤「ガラフォルド」の発売が日本でも始まりました。「シャペロン療法」は正しい折りたたみ構造が取れない変異酵素に対し、特異的に結合できる低分子化合物を用いることによりフォールディングを促し、通常のプロセシング経路への移行を手助けするという優れた治療戦略です。

■共同研究・特許など

希少疾患に対し、独自に保有するイミノ糖ライブラリーを活用した選択的かつ効果的なシャペロン化合物を提供した実績があります。
・希少疾患に対する効果的な薬剤シーズの探索・設計と有効性の検証
上記について共同研究を行える企業を探しています。

富山大学研究者プロファイルPure URL：https://u-toyama.elsevierpure.com/ja/persons/