

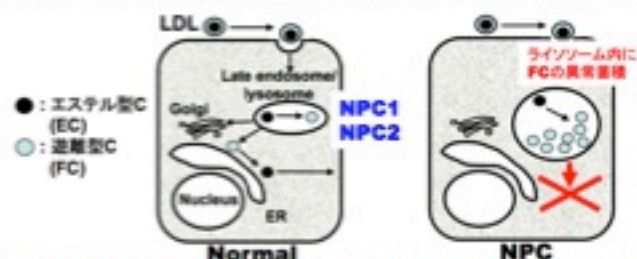
# ニーマン・ピック病C型治療の最適化のためのrTR

熊本大学大学院生命科学研究部 薬剤情報分析学分野

## 1. 臨床での知見

### Niemann-Pick病C型(NPC)

- I. コレステロール(C)などの細胞内輸送に関わる蛋白質 (NPC1またはNPC2) の遺伝子変異により細胞内脂質代謝・転送系が破綻する稀少難病



- II. ヒドロキシプロピル-β-シクロデキストリン (HP-β-CD)がNPC患者の病状を改善  
III. HP-β-CDの適正使用のための情報不足

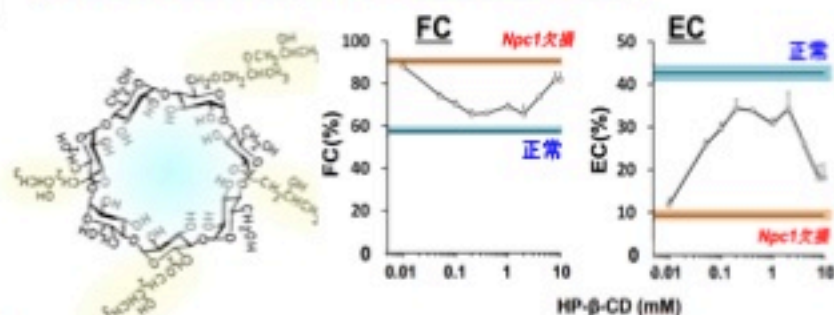
## 3. 臨床へのフォードバック

- I. NPC患者におけるHP-β-CDの静脈内及び脳室内投与時の動態パラメータに基づいた至適投与プロトコルの提案



## 2. 基礎研究

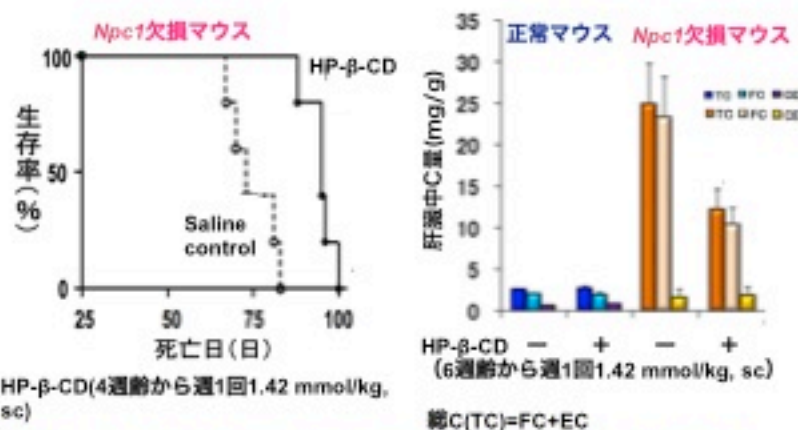
- I. HP-β-CDによるNpc1欠損細胞の遊離型C(FC)減少及びエステル型C(EC)増加効果に至適濃度



HP-β-CD

HP-β-CD (0.1-1 mM)でNpc1欠損細胞のCバランスが正常化

- II. HP-β-CDによるNpc1欠損マウス体重減少の抑制、肝臓中FCの減少及び延命効果



- III. HP-β-CDの作用機序解明並びに有効性・安全性に優れる候補化合物の探索

臨床

rTR

基礎

臨床