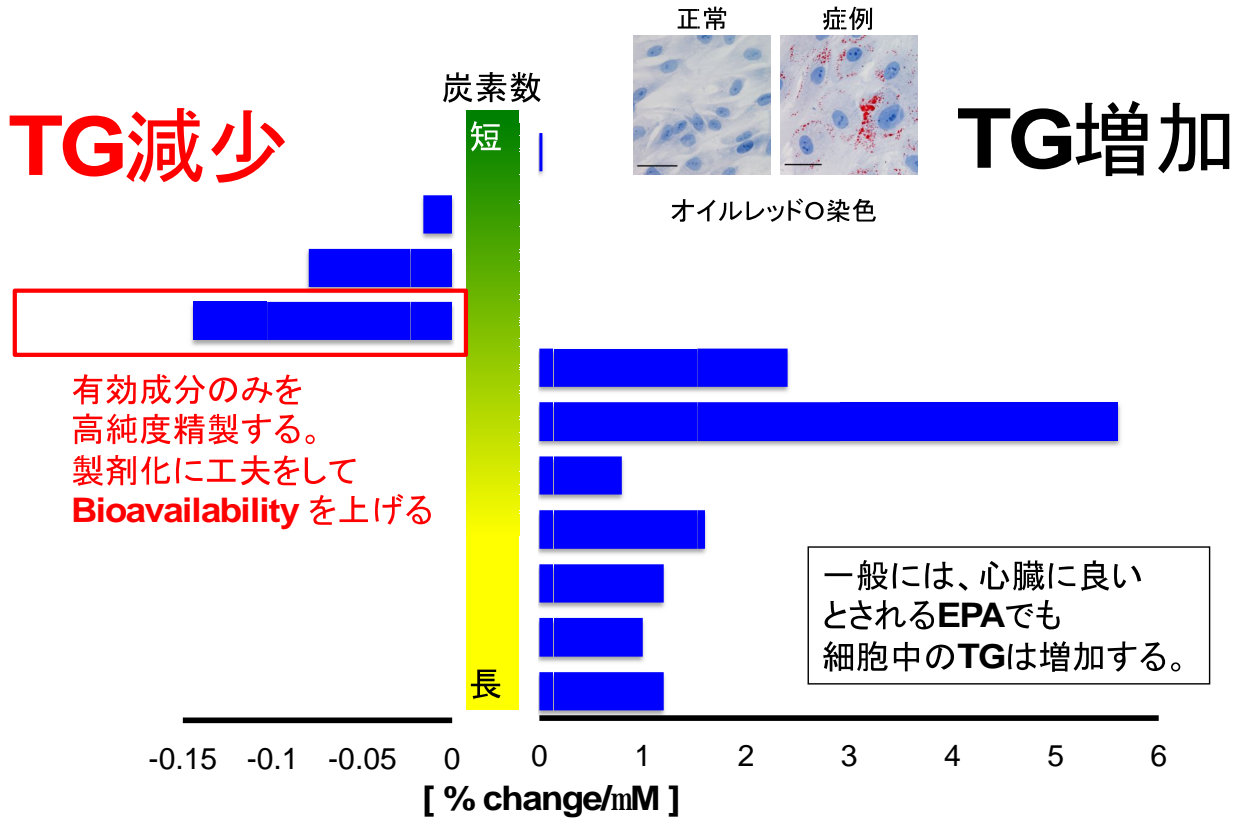




# 各種脂肪酸の細胞内TG減少効果 -TGCV症例由来皮膚線維芽細胞による解析-

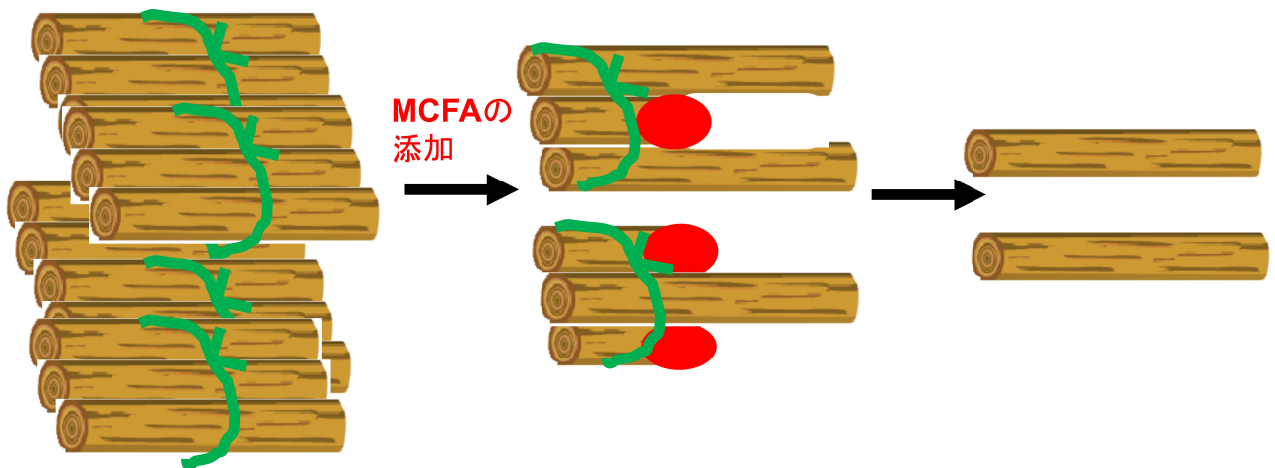


## 細胞内中性脂肪減少のメカニズム -キメラTG形成と加水分解促進-

中性脂肪の異常蓄積 (Abnormal accumulation of neutral lipids)

キメラTGの形成 (Formation of chimeric TG)

加水分解の促進 (Promotion of hydrolysis)



長鎖脂肪酸 (LCFA)

中鎖脂肪酸 (MCFA)



# 安全性に関する非臨床試験 -First-in-human studyに必要な試験をすべて終了-

	試験名	結果	
安全性薬理試験	中枢神経系に及ぼす影響	影響なし	
	心血管系に及ぼす影響	影響なし	
	呼吸器系に及ぼす影響	影響なし	
	hERG細胞/	予備試験	影響なし
		本試験	影響なし
反復毒性試験	ラット4週間反復経口投与毒性試験及び4週間回復試験	無毒性量 1000mg/kgを超える	
	イヌ4週間反復経口投与毒性試験及び4週間回復試験	無毒性量 1000mg/kgを超える	
遺伝毒性試験	Ames(復帰突然変異)/	陰性	
	Ames(復帰突然変異)/	陰性	
	染色体異常	陰性	
	ラット小核	用量設定 本試験	骨髄増殖 抑制なし 陰性

15

## 試験物(治験薬コード: CNT-01)の概要

- ① 画期性と市場における位置付け
  - 大地の恵み、母の恵みの栄養成分を主成分とする。
  - 廉価で、安全性が高い。
  - 特殊な製剤化により、Bioavailability を上げることに成功。
- ② 調達法
  - 大阪大学医学部附属病院・薬剤部で原薬を製造し、カプセル化を外注し、大阪大学医学部附属病院・薬剤部で包装を行う
- ③ 製造元または供給元の名称
  - 大阪大学医学部附属病院・薬剤部
- ④ 品質
  - 治験薬GMP

知財権: 用途特許: 優先日 2011.8.26,  
PCT/JP2012/071594  
発明者: 代表研究者、分担研究者ら。  
測定法特許: 優先日 2013.10.30  
発明者: 分担研究者、代表研究者ら。



(30カプセル/包)

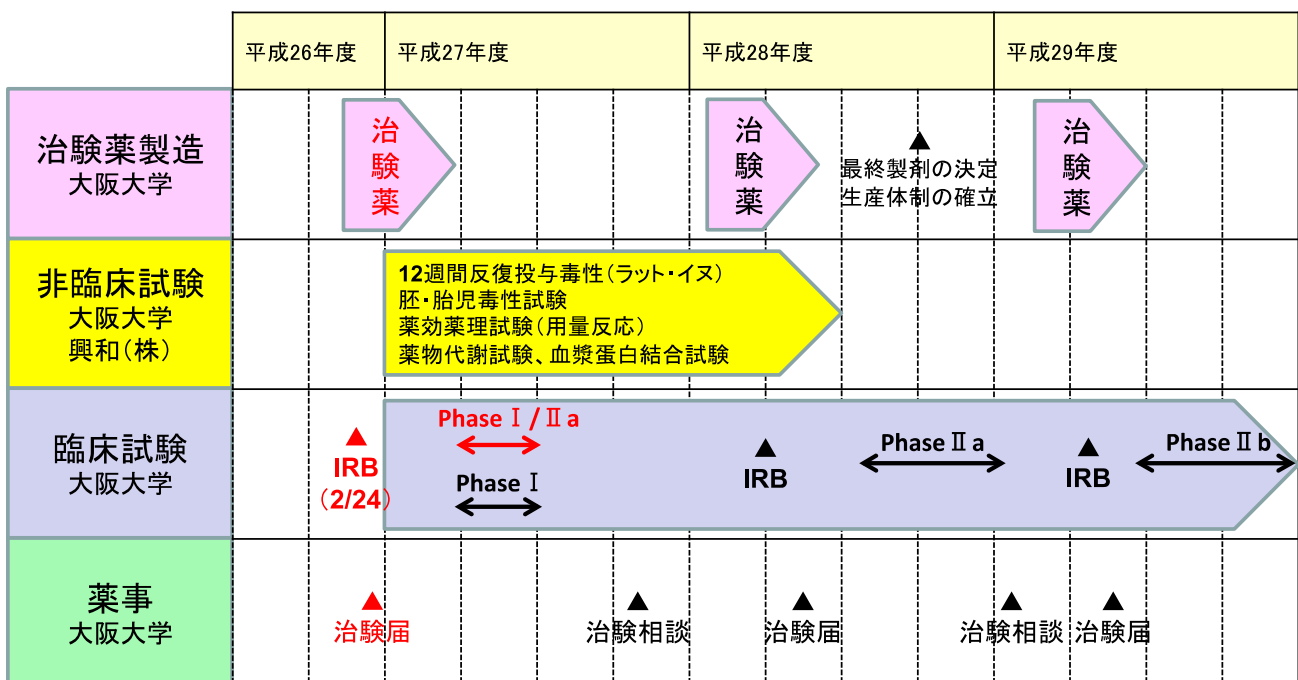
16

# First-in-human 臨床試験の概要

- 第I/IIa相試験
- 試験デザイン: 反復投与、非盲検、探索的試験
- 対象疾患: 特発性TGCV(6例)
- 評価項目:
  - ✓ 主要評価項目: 安全性
  - ✓ 副次評価項目: 有効性指標の探索(BMIPPシンチなど)
  - ✓ 薬物動態: 薬物の血中濃度
- 治療計画: CNT-01 500mgを、1日3回、毎食後、14日間反復投与
- 研究機関: 大阪大学医学部附属病院
- 目標症例数: 6例試験の準備状況:
  - IRB 審議中、3月末までに治験届提出予定

17

## 開発スケジュール(ロードマップ)



18

# グローバル展開：国際レジストリーとシンポジウム

**International Registry Study of Neutral Lipid Storage Disease (NLSD) / Triglyceride Deposit Cardiomyovascuopathy (TGCV) and Related Diseases**



The heart from a 25-years-old male (kindly provided by Dr. Michio Tanaka)

Jordans' anomaly in peripheral leucocyte

Registry Home

What is NLSD/TGCV study

Steering Committee Members

**Contact Us to Register**

## 運営委員会メンバー

**Austria:** Rudolf Zechner

**China:** Yun Yuan

**France:** Pascal Laforet, Karim Wahbi, Robert Salvayre, Ann Negre-Salvayre

**Italy:** Marcello Arca, Daniela Tavian, Elena Pennisi, Corrado Angelini

**Japan:** Ken-ichi Hirano, Kunihiisa Kobayashi, Shu-Ping Hui

**Netherlands:** Matthijs Hesselink

**UK:** Rita Horvath

**USA:** Salvatore DiMauro, Sean M. Wu, Rosalind A. Coleman

Management for eCB system: Takako Jyouno

## 2011 Kyoto

THE FIRST INTERNATIONAL SYMPOSIUM on Triglyceride Deposit Cardiomyovascuopathy Neutral Lipid Storage Disease

## 2013 Osaka

THE 2nd INTERNATIONAL SYMPOSIUM on Triglyceride Deposit Cardiomyovascuopathy Neutral Lipid Storage Disease

## 2015 Tokyo (明日、開催)



# CNT-01の適応となりえる疾患

## 中鎖脂肪酸の適応疾患

### 外科的疾患

乳び胸

### 神経内科的疾患

てんかん

### 消化器疾患

潰瘍性大腸炎

クローン病

小腸広汎切除

### リンパ管拡張症

### 代謝分類的適応疾患

- 長鎖脂肪酸代謝能低下  
CD36欠損症、  
カルニチン欠乏症、  
長鎖脂肪酸β酸化障害
- 長鎖脂肪酸＋糖代謝能低下  
CD36欠損症  
糖尿病  
糖原病I, III  
シトリン欠損症
- 長鎖脂肪酸組織蓄積症  
DM(糖尿病)  
GSD(糖原病)  
LPL欠損症

### 慢性腎不全

### 糖尿病

### 認知症

(宝塚市立病院  
小児科 長坂博範先生  
よりご提供)

**-希少疾患からcommon diseaseまで-**