

医療分野研究成果展開事業/研究成果最適展開支援プログラム (AMED・A-STEP)

平成 27 年度終了課題 事後評価報告書

プロジェクトリーダー (企業責任者)	株式会社レクメド 代表取締役社長 松本 正
研究責任者	学校法人長崎国際大学 人間社会学部 教授 中村 龍文
支援タイプ	ハイリスク挑戦
研究開発課題	HTLV-1 関連脊髄症およびムコ多糖症の市販用製剤の開発

1. 研究開発の目的

現在、ポリ硫酸ペントサン(PPS)のドイツにおける市販製品(アンプル製剤)を用いて、HTLV-1 関連脊髄症ならびにムコ多糖症の探索的臨床試験を実施中である。しかし、使用時のアンプルカットの問題や、可視微粒子の出現等の問題を抱え、新規製剤開発への期待が高い。本研究開発は、これら現製剤の問題点を克服した新規製剤を早期に開発し、市販用製剤と同等の GMP 治験薬を検証的臨床試験(Phase 3 相当)に提供することを目的とする。

2. 研究開発の概要

①成果

本研究開発期間を通し、市販品レベルの GMP 治験薬製造を確立するとともに、ペントサンの作用機序の理解を深めることができた。

研究開発目標	成果および達成度
① リン酸バッファーにおいて安定なバイアル瓶の組合せを検討	①バイアル製剤(液剤)においては 6 カ月の加速安定性試験、凍結乾燥製剤に関しては 1 カ月の加速安定性試験まで実施(達成度 100%)
② 新薬製造販売申請に向けた PPS の薬理試験データの取得	
②-1: PPS がヒト血管内皮細胞(EC)に与える効果の解析	②-1: PPS のヒト血管内皮細胞からの細胞接着分子の遊離活性を確認(達成度 100%)
②-2: PPS 飲用に伴うモデル動物での遺伝子探索とその解析	②-2: HBZ 発現細胞の接着に影響を与える細胞浸潤、炎症発症を抑制することが明らかになった。(達成度 100%)

②今後の展開

今回の研究開発を通して、市販用製剤を完成させることができたので、治験薬として提供することを目的に、平成 28 年 6 月より治験薬(治験薬 GMP 対応)の製造を開始し、予定を早め現在進行中の探索的臨床試験から、治験薬として提供を開始する。

### 3. 総合所見

本研究開発課題は、稀少疾患に対する薬剤開発であり、その開発の意義は高く、今回、短期間で、海外で使用されているアンプルの不良に対して GMP レベルの新規凍結乾燥製剤の開発に成功した点は一定の成果である。

一方、PPS 自体は古い薬剤であり、機序も単純でないことを考えると、現在の適応症でどのくらいビジネス性があるかは不透明な状況である。新規製剤の特許出願など知財戦略をよく検討された上で、開発を継続されることが望まれる。

※記載の情報は平成 28 年 7 月時点の情報です。