

## 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 28 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)	帝人ファーマ株式会社 製薬技術研究所 日野統括 丸尾 享
研究責任者	国立大学法人浜松医科大学 医学部 精神医学講座 教授 山末 英典
支援タイプ	ハイリスク挑戦 タイプ
研究開発実施期間	平成 26 年 12 月 ~ 平成 28 年 11 月
研究開発課題	革新的な自閉症中核症状治療法の創出

#### 1. 研究開発の目的

自閉症スペクトラム障害は出現頻度が高いにもかかわらず、中核症状治療薬がないため、大きな社会問題となっている。自閉症スペクトラム障害中核症状の治療薬として開発する目的で、既存の経鼻製剤を用いた検討が報告されているが、治療効果を科学的に検証した報告はほとんどなく、また、薬剤投与に対する患者さんの負担が大きいなど服薬コンプライアンスが低く、実際の医薬品として開発／実用化していく上で大きな課題があった。そこで、治療効果を感度良く検出するバイオマーカーの探索、及び薬剤投与の負担の少ない製剤設計により、未だ有効な治療薬や介入方法が確立されていない自閉スペクトラム症中核症状に対する世界初の治療薬を創出する。

#### 2. 研究開発の概要

##### ① 成果

治療効果を事前に高精度に予見するバイオマーカーを探索した結果、治療開始前に客観的な検査から得られた複数のバイオマーカーを組み合わせて、治療後の治療効果が得られるかどうかを高い精度で予測出来る方法を開発した。また、既存の経鼻製剤の使用における課題として、投与に際した幾つかの課題があったため、これらの課題を解決できる新規製剤の設計検討を機能面及び品質面から行い、投与回数が少なく薬剤投与の負担の少ない新規製剤を開発した。更に開発した新規製剤を用いた臨床試験開始の前提となる非臨床試験も完了した。

研究開発目標	達成度
①治療効果を感度良く検出するバイオマーカーの探索	①治療開始前に客観的な検査から得られた複数のバイオマーカーを組み合わせて、治療後の治療効果が得られるかどうかを高い精度で予測出来る方法を開発した。
②薬剤投与の負担の少ない製剤設計	②製剤設計の検討を機能面及び品質面から行い、投与回数が少なく薬剤投与の負担の少ない新規製剤を開発した。更に開発した新規製剤を用いた臨床試験開始の前提となる非臨床試験も完了した。

## ②今後の展開

今回得られた成果をベースに、引き続き日本医療研究開発機構による研究開発支援事業（脳科学研究戦略推進プログラム）を活用し、医薬品としての開発／実用化に向けた研究開発を進め、出来る限り早期に、新規な自閉症中核症状治療法の創出を実現したい。

### 3. 総合所見

本研究開発課題は、製剤、バイオマーカーとも順調に研究成果が出ており、当初の目標は達成されたと判断される。今後の開発において、この成果を最大限活用されることが望まれる。また、連投での臨床効果について、本研究開発課題で開発された製剤を用いれば有効性がより明確となる期待があり、治験の結果が待たれるところである。

今後はさらに企業のコミットメントを高め、導出戦略等について、早急に検討が必要である。

※記載の情報は平成29年2月時点の情報です。