

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)	株式会社 RNAi 代表取締役 山田 智之
研究責任者	国立大学法人東京大学 医科学研究所 特任准教授 谷口 博昭
支援タイプ	ハイリスク挑戦
研究開発実施期間	平成 26 年 12 月 - 平成 28 年 9 月
研究開発課題	がん幹細胞特異因子を標的とした難治性癌の治療法開発検討

## 1. 研究開発の目的

難治性であるトリプルネガティブ乳がん、膵がんに対する核酸医薬による治療法確立を最終目的とし、核酸医薬の非臨床試験の実施、GMP グレードでの製剤の製造、医師主導治験プロトコルの作成及び第 I 相試験の開始を開発目標とする。

## 2. 研究開発の概要

### ① 成果

研究開発成果は当初の目的である非臨床試験の終了を達成できたため満足できるものであった。本支援により、非臨床試験に使用する核酸の確保、品質試験が可能であったこと、並びに、審査委員の先生のコメントにより適切な動物実験を追加することができたと考える。また、今後の開発検討において重要かつ必須なデータが得られたと結論する。

研究開発目標	達成度
① 核酸医薬の非臨床試験の完了	① 核酸及びデリバリー剤複合体分析関係試験によるバリデーション及び、ラット・サル試験による安全性確認、薬効薬理試験による薬効薬理の確認を計画通り完了した。
② 治験薬の GMP グレードでの製造検討、製造開始	② GMP グレードでの製造確認及び製造試験を完了し、臨床用サンプルの製造を実施できることを確認した。
③ 医師主導治験プロトコルの作成及び第 I 相試験の準備完了	③ 原案の作成は済んでおり、医学統計の専門家の確保は行ったものの、本項目は上記した中間報告会で指摘された点の克服を待つ必要がでてきたことから、本予算においては進捗しなかった。

### ② 今後の展開

本プログラムの当初達成目標であった、非臨床試験までのデータが得られたため早期終了となった。今後、開発体制をさらに強化し、現在進行している革新的がん医療実用化研究等の成果につ

なげることを目指す。

### 3. 総合所見

AMED・A-STEPにおける本研究開発課題は、AMED 革新的がん医療実用化研究事業による支援と連携して実施され、当初目標の①核酸医薬の非臨床試験の完了、②治験薬の「GMP グレードでの製造検討、製造開始、③医師主導治験プロトコルの作成及び第Ⅰ相試験の準備完了のいずれも概ね達成しており、ヒトでの臨床試験の結果が待たれるところである。

しかしながら、核酸医薬が標的とする「がん幹細胞特異因子」の特定とそれを標的とする作用機序の解明は未だ十分とは言えず、それらの解明は今後の実用化にあたっての課題である。

※記載の情報は平成28年9月時点の情報です。