

## 事後評価結果

課題管理番号 : 17ek0109075h0003  
研究開発課題名 : プリオン病に対する低分子シャペロン治療薬の開発  
研究代表機関名 : 国立大学法人岐阜大学  
研究開発代表者名 : 桑田一夫

評価委員会のコメント :

### ○評価できる点、推進すべき点、研究事業にとって必要である理由

多くのサル4週試験実施に必要な多くのサル試験を精力的にこなし、P1試験実施に向けて開発を進めている。

プリオン病に対する治療薬候補の前臨床研究を進めている。

プリオン病という重篤な難病に対する、重要な開発である

### ○疑問点、改善すべき点、その他助言等

当初予定していたサル4週毒性試験が期間内に実施できなかった理由がはっきりしない。元の計画に無理があったのかもしれないが、ステップ1の目標を勘案すると何らかの対策を講ずべきであったと考えられる。しかし資料からは、どのような対応を取ったのかそれもはっきりしない。

サルでの薬理効果として発症の遅延効果が得られているが、臨床では何をエンドポイントにするのか。発症後の投与の実験は進行中。髄液中濃度は検出限界以下とのことであるが、それで良いのか。ラットを用いた動物実験の結果から、本薬剤の非臨床POCが確立できているかがポイントとなるが、本POCが確立されているかが定かでない。

開発が困難な領域での革新的な試みと考えるが、進捗、達成状況が不十分。

以上